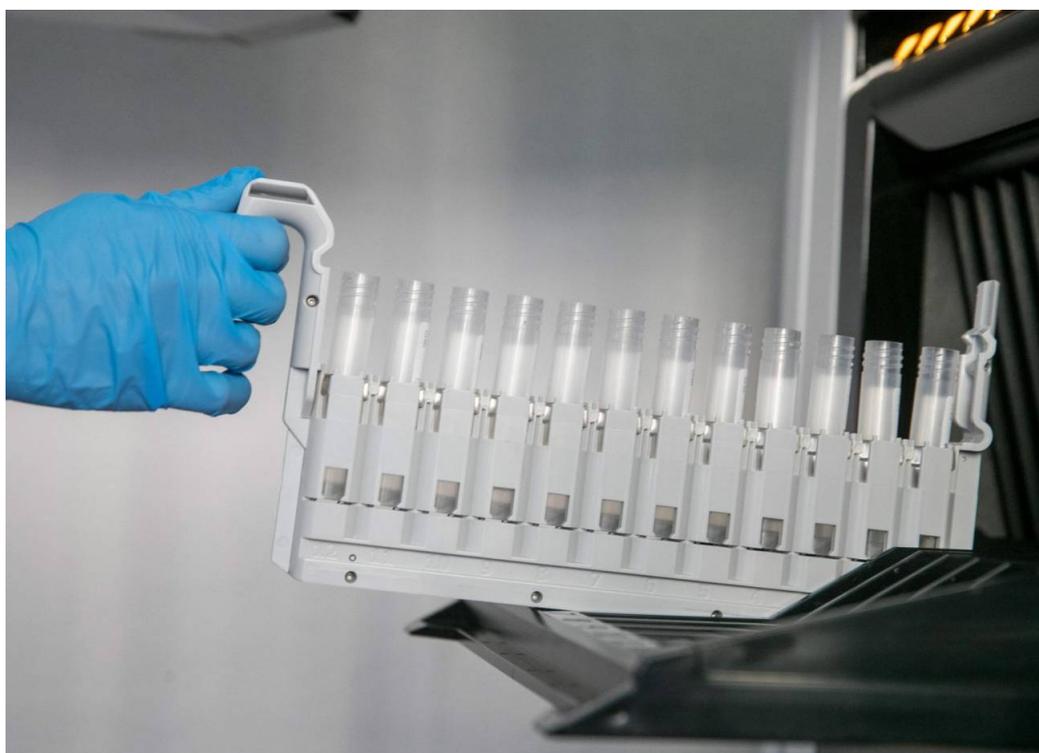


## Un fármaco experimental logra la remisión completa de la leucemia aguda en 18 pacientes

Dos estudios que publica *Nature* presentan los resultados de un ensayo en fase 1 en el que participaron 60 personas a las que se trató con el medicamento experimental por vía oral revumenib. El tratamiento logró curar al 30 % de los pacientes.

EFE

16/3/2023 10:31 CEST



Los ensayos clínicos se han llevado a cabo con 60 personas que padecían leucemia mieloide aguda avanzada. / EFE / Javier Cebollada / Archivo

Un fármaco experimental para la **leucemia mieloide aguda avanzada** o resistente ha logrado, en un pequeño ensayo clínico, algún grado de remisión en el 53 % de los pacientes y completa en el 30 % (18 personas), aunque también se han detectado posibles indicios de resistencia al tratamiento.

Dos estudios que publica esta semana *Nature* presentan los resultados de un ensayo en fase clínica 1 en el que participaron 60 personas a las

que se trató con el **fármaco experimental por vía oral revumenib**, que "ha revelado efectos anticancerígenos y posibles indicios de resistencia", señala la revista.

El primer estudio, encabezado por **Ghayas Issa** de la Universidad de Texas, demostró que la inhibición de una proteína denominada menina gracias al uso de revumenib, "producía respuestas alentadoras" en leucemias agudas avanzadas con **reordenamientos KMT2A o NPM1 mutante**.

"Me alientan estos resultados, que sugieren que revumenib puede ser una terapia dirigida oral eficaz para pacientes con una leucemia aguda causada por estas alteraciones genéticas", indicó Issa en un comunicado de la universidad.

---

De los 60 pacientes, un 53 % tuvo algún grado de remisión y un 30 % (18 pacientes) mostraron una remisión completa

Durante el ensayo clínico, realizado entre 2019 y 2022, de los 60 pacientes un 53 % tuvo algún grado de remisión y un 30 %, es decir, 18 pacientes, mostraron una remisión completa o remisión completa con recuperación hematológica parcial, señala el estudio.

### **Inhibidores de la menina**

De esos 18 pacientes con remisión completa, el 78 % presentaba **enfermedad residual medible indetectable** tras casi dos meses de remisión, lo que "demuestra el potencial de los tratamientos con inhibidores de la menina para la leucemia aguda", escriben los investigadores.

"Estas tasas de respuesta, especialmente las tasas de eliminación de la enfermedad residual, son las más altas que hemos observado con cualquier monoterapia utilizada para estos subconjuntos de leucemia resistentes", destacó Issa.

El segundo de los estudios, dirigido por **Scott Armstrong** del Instituto Oncológico Dana Farber (EE UU), profundizó en la aparición de resistencia selectiva a la inhibición de la menina.

El equipo identificó **mutaciones específicas en el gen MEN1** (que codifica la menina), las cuales pueden provocar resistencia al tratamiento con revumenib mediante la alteración del sitio de unión al fármaco.

Estas mutaciones se detectaron en varios pacientes que respondieron inicialmente al tratamiento con revumenib pero que no mantuvieron la respuesta clínica.

---

La identificación de las vías de escape del tratamiento proporciona información valiosa que será necesaria para mejorar los resultados en el futuro, según los autores

La identificación de estas vías de escape del tratamiento proporciona información valiosa que será necesaria para mejorar los resultados de los pacientes en el futuro, según la publicación.

### **Tasas de supervivencia**

La leucemia aguda suele caracterizarse por la mutación del gen de la nucleofosmina 1 (NPM1) o la reordenación del gen de la leucemia de linaje mixto 1 (KMT2Ar), y se ha demostrado que ambos contribuyen a la progresión del cáncer.

Las tasas de supervivencia global son bajas y actualmente **no existen tratamientos aprobados** que se dirijan específicamente a estas alteraciones genéticas.

Estudios preclínicos anteriores habían demostrado que la proteína menina facilita la progresión de la leucemia aguda con mutación KMT2Ar o NPM1, lo que indica que la inhibición de esta podría revertir la

progresión del cáncer en este subconjunto de leucemias.

## Referencias:

Ghayas Issa *et al.* "The menin inhibitor revumenib in KMT2A-rearranged or NPM1-mutant leukaemia". *Nature* (marzo, 2023).

Scott Armstrong *et al.* "MEN1 mutations mediate clinical resistance to Menin inhibition". *Nature* (marzo, 2023).

Derechos: **Creative Commons.**

TAGS

ENSAYO CLÍNICO | FÁRMACO | LEUCEMIA |

Creative Commons 4.0

Puedes copiar, difundir y transformar los contenidos de SINC. [Lee las condiciones de nuestra licencia](#)