20-22 DE NOVEMBRE DE 2025
AUDITORI L'ILLA/BARCELONA
Societat Catalana d'Oftalmologia
56è CONGRÉS DE LA SOCIETAT CATALANA D'OFTALMOLOGIA
OFTALMOLOGIA 360º

ESTUDI FASE I DEL VIRUS ONCOLÍTIC VCN-01 EN PACIENTS AMB RETINOBLASTOMA REFRACTARI

Jaume Català Mora, Eduard Pedemonte, Jesús Díaz Cascajosa, Jaume Mora, Itziar Alonso Colmenero, Dolors Molies Navarrete, Margarida Simao, Francis Munier, Livia Romero, Ligia Fu, Jesus Ardila, Ida Russo, Senyase Zamarripa, Ana Mato, Carmen Blasco, Manel Cascalló, Guillermo Chantada, Angel Montero-Carcaboso

Hospital Sant Joan de Déu

Introducció:
El retinoblastoma avançat refractari presenta limitades opcions terapèutiques amb elevada toxicitat retiniana. VCN-01 és un adenovirus oncolític modificat genèticament que replica específicament en cèl·lules amb via RB1-E2F1 alterada, característica del retinoblastoma.

Material i Mètodes:
Assaig clínic de fase I d'escalada de dosis (NCT03284268) per avaluar la seguretat i tolerabilitat de VCN-01 intravítre.

Criteris d'inclusió:
retinoblastoma unilateral amb mutació RB1 somàtica o germinal, refractari a quimioteràpia sistèmica/intraarterial/intravítrea, amb indicació d'enucleació.

Exclusió:
glaucoma, rubeosi iris o afectació cambra anterior. Es van administrar 2 injeccions intravítrees (2E+9 o 2E+10 vp/ull/dosi) cada 2 setmanes. La toxicitat limitant de dosis es va definir com toxicitat ocular ?grau IV o sistèmica ?grau III. Resposta avaluada segons criteris RB-RECIST al dia 42.

Resultats:
9 pacients tractats (5?, 4?), edat mitjana 3,2 anys (rang 2-7). Distribució: 4 mutacions somàtiques/5 germinals, 2 grup C/7 grup D. L'efecte advers més freqüent va ser uveïtis (89% pacients), controlada amb esteroides tòpics i sistèmics. No es va detectar toxicitat retiniana ni recaiguda extraocular. Resposta: 4 pacients resposta parcial, 3 malaltia estable, 2 progressió. Ull preservat en 3 pacients (33%). Discussió: VCN-01 demostra perfil de seguretat acceptable amb toxicitat principalment inflamatòria reversible. L'activitat antitumoral observada inclou respostes parcials en casos altament refractaris.

Conclusions:
VCN-01 constitueix una opció terapèutica innovadora i segura per retinoblastoma refractari, amb potencial per preservar globus oculars destinats a enucleació.