

MBI capta US\$ 5,6 milhões para pesquisas sobre tumores cerebrais em rodadas recentes de arrecadação

Novos investimentos fortalecem o avanço dos estudos em direção à fase clínica, acelerando o desenvolvimento de terapias promissoras para crianças com tumores cerebrais.

WASHINGTON, D.C., 25 de setembro de 2026 — A Medulloblastoma Initiative (MBI) anunciou hoje US\$ 2,2 milhões em novos financiamentos para pesquisa, seu investimento mais recente em um portfólio coordenado de programas voltados ao desenvolvimento de novos tratamentos para o meduloblastoma, o tumor cerebral maligno mais comum em crianças.

O novo financiamento soma-se aos US\$ 3,4 milhões já arrecadados, elevando para um total de US\$ 5,6 milhões o investimento combinado das duas rodadas mais recentes. Desde sua fundação, há 5 anos, a MBI investiu aproximadamente US\$ 15 milhões em pesquisas sobre o meduloblastoma, acelerando o ritmo das descobertas científicas e sua aplicação no desenvolvimento de tratamentos.

Os investimentos fazem parte da ampla rede de pesquisa da MBI, liderada pelo **Dr. Roger J. Packer**, um dos principais neuro-oncologistas pediátricos do mundo e diretor do Brain Tumor Institute do Children's National, em Washington, D.C.

A MBI reúne 16 laboratórios de excelência nos Estados Unidos, no Canadá e na Alemanha em torno de uma estratégia científica comum. Em vez de financiar projetos isolados, a MBI criou uma estratégia coordenada que abrange desde a pesquisa básica até a aplicação clínica, com o objetivo de identificar e validar novos alvos, transformar descobertas em terapias, promover seu avanço ao longo das etapas do desenvolvimento regulatório e apoiar ensaios clínicos.

O modelo baseia-se em um princípio simples: quando o financiamento para pesquisa é escasso, cada dólar deve ser empregado de forma estratégica e com um caminho claro para gerar impacto. A MBI reúne cientistas de destaque em torno de prioridades comuns. Direciona questões científicas às equipes mais bem preparadas para investigá-las, reduz duplicações e promove a colaboração e o compartilhamento de dados entre instituições.

A MBI dedica atenção especial a pesquisas promissoras que já ultrapassaram a fase inicial de descoberta, mas que precisam de financiamento direcionado e coordenação para chegar à prática clínica. O impulso no momento certo pode fazer com que oportunidades cientificamente relevantes cheguem mais rapidamente aos pacientes.

O modelo já está produzindo avanços: dois ensaios clínicos já estão em andamento, com pacientes em tratamento. Outros programas terapêuticos estão sendo preparados para submissão à Food and Drug Administration (FDA), agência reguladora de medicamentos dos Estados Unidos, e para avaliação em ensaios clínicos, enquanto novas abordagens seguem avançando nas diferentes etapas de pesquisa e desenvolvimento. O MIT destacou a abordagem da MBI como um possível "novo manual para curar doenças raras infantis", reconhecendo o potencial do financiamento estratégico, da colaboração científica e do senso de urgência para acelerar os avanços.

US\$ 15 milhões

investidos em pesquisas sobre o meduloblastoma ao longo de 5 anos

US\$ 5,6 milhões

investidos nas duas rodadas de financiamento mais recentes da MBI

US\$ 2,2 milhões

em novos financiamentos para pesquisa anunciados nesta rodada

Supervisão científica independente

Um Conselho Consultivo Independente, composto por especialistas de reconhecimento internacional em câncer cerebral pediátrico, analisa e valida a estratégia de pesquisa e as decisões de financiamento da MBI:

- **Dr. Scott Pomeroy**, Harvard Medical School e Boston Children's Hospital;
- **Dr. Paul Northcott**, St. Jude Children's Research Hospital;
- **Dr. William Weiss**, University of California, San Francisco.

O Conselho ajuda a assegurar que os recursos sejam direcionados às oportunidades de maior relevância científica e com maior potencial de aplicação clínica.

Novos investimentos em pesquisa

- **PRECISION - Dr. Duane Mitchell**

University of Florida

O PRECISION é a próxima geração da imunoterapia baseada em RNA para meduloblastoma apoiada pela MBI. Foi concebido para identificar e validar um conjunto definido de antígenos tumorais, possibilitando uma abordagem terapêutica mais precisa. O financiamento da MBI apoiará a seleção e a validação de antígenos, estudos de segurança e toxicidade e a preparação regulatória necessária para que o programa avance rumo à submissão à FDA e à avaliação em ensaios clínicos.

- **CARVengers - Dra. Dalia Haydar, Dr. Nicholas A. Vitanza, Dr. Myron Evans e Dra. Jessica Foster**

Children's National Hospital | Seattle Children's | Children's Hospital of Philadelphia

O CARVengers reúne pesquisadores de destaque na área de células CAR T para desenvolver e comparar, de forma colaborativa, estratégias terapêuticas contra o meduloblastoma, incluindo abordagens envolvendo os antígenos B7-H3, CPC2 e GD2. Ao testar diferentes construtos e estratégias de CAR em várias instituições e compartilhar os resultados, o programa busca identificar as abordagens mais promissoras e acelerar sua chegada aos pacientes.

- **PRTC CAR T - Dr. Mohammad Abu-Arja e Dr. Michael Taylor**

Texas Children's Hospital & Baylor College of Medicine

Esse programa está desenvolvendo uma terapia com células CAR T direcionada à protogenina (PRTC), um alvo promissor associado a uma população de células com características de progenitoras implicada nos meduloblastomas dos Grupos 3 e 4. Com base em resultados pré-clínicos encorajadores, o financiamento da MBI apoiará o trabalho translacional e regulatório necessário para levar a terapia PRTC CAR T à preparação para estudos clínicos e, posteriormente, a um primeiro ensaio clínico em seres humanos.

- **Dr. Vijay Ramaswamy**

The Hospital for Sick Children (SickKids), Toronto

O laboratório do Dr. Vijay Ramaswamy investiga vulnerabilidades biológicas e metabólicas que possam levar a novos tratamentos para o meduloblastoma, incluindo a via mTOR e compostos de nova geração desenvolvidos para interromper a sinalização essencial ao crescimento e à sobrevivência tumorais. O financiamento da MBI apoiará a validação contínua de oportunidades terapêuticas promissoras e ajudará a determinar quais abordagens podem avançar para o desenvolvimento clínico.

- **Dr. Robert Wechsler-Reya**

Columbia University

O laboratório do Dr. Robert Wechsler-Reya utiliza modelos avançados da doença, triagem genética e estudos terapêuticos para identificar dependências biológicas essenciais à sobrevivência das células de meduloblastoma e transformar essas descobertas em possíveis tratamentos. O financiamento da MBI apoiará a investigação contínua de vulnerabilidades promissoras, incluindo abordagens destinadas a tornar os tumores mais suscetíveis a terapias existentes e emergentes.

- **Dra. Lena Kutscher**

German Cancer Research Center, Heidelberg, Germany

O laboratório da Dra. Lena Kutscher desenvolve modelos avançados de meduloblastoma para compreender como a doença se desenvolve, identificar vulnerabilidades terapêuticas e testar possíveis tratamentos em sistemas que reproduzem fielmente a biologia dos tumores humanos. A MBI apoia esse trabalho para disponibilizar modelos robustos, necessários para a identificação e validação de oportunidades terapêuticas promissoras que possam dar origem à próxima geração de tratamentos.

Continuidade do investimento em programas existentes

A MBI também renovará o financiamento de programas apoiados em fases anteriores de desenvolvimento. Não se trata do lançamento de novos programas, mas da continuidade do compromisso com terapias que já avançaram em direção aos ensaios clínicos ou que já estão sendo testadas. Isso reflete um elemento central do modelo da MBI: apoiar programas promissores não apenas até que cheguem à prática clínica, mas também ao longo das etapas críticas de desenvolvimento regulatório, recrutamento de pacientes e geração de evidências clínicas.

- **MATCHPOINT - Dr. Duane Mitchell**

University of Florida e Children's National Hospital

O MATCHPOINT é um ensaio clínico financiado pela MBI para meduloblastoma recorrente que combina células T reativas ao tumor, uma vacina personalizada de células dendríticas e inibição de *checkpoints* imunológicos para atacar o câncer por meio de múltiplos mecanismos. A MBI apoiará a continuidade da inclusão e do tratamento de pacientes enquanto o ensaio gera as evidências clínicas necessárias para a avaliação dessa abordagem.

- **Vacina de mRNA - Dr. Elias Sayour**

University of Florida & Children's National Hospital

A imunoterapia baseada em RNA mensageiro (mRNA) do Dr. Elias Sayour utiliza nanopartículas lipídicas para transportar RNA derivado do tumor e estimular uma ampla resposta imune contra tumores cerebrais pediátricos, incluindo o meduloblastoma. A MBI ajudou a levar essa plataforma do desenvolvimento pré-clínico aos testes clínicos, nos quais pacientes já estão sendo tratados. A renovação do financiamento apoiará a continuidade do tratamento e a avaliação do seu potencial terapêutico.

- **DEFEAT-MB - Dra. Dalía Haydar e Dr. Roger Packer**

Children's National Hospital, Seattle Children's e Children's Hospital of Philadelphia

O DEFEAT-MB está desenvolvendo uma terapia com células CAR T de duplo alvo (GPC2 e B7-H3), concebida para reduzir a capacidade das células de meduloblastoma de escapar do tratamento. Após a avaliação e a seleção de construtos de CAR promissores, a MBI apoiará os estudos para viabilizar a submissão de um pedido de autorização para investigação de um novo medicamento (Investigational New Drug - IND), a preparação para a fabricação e o trabalho regulatório necessário para que a terapia avance rumo a um primeiro ensaio clínico em seres humanos.

Sobre a Medulloblastoma Initiative

A MBI é uma organização filantrópica sem fins lucrativos dedicada a acelerar o desenvolvimento de novos tratamentos e curas para o meduloblastoma.

Fundada por Fernando Goldsztein em colaboração com o **Dr. Roger J. Packer**, do Children's National, reúne cientistas e instituições de destaque em uma rede coordenada de pesquisa voltada a transformar descobertas científicas em tratamentos para crianças com a maior rapidez possível.

A criação da MBI foi inspirada pela história de Frederico, filho de Fernando, que recebeu o diagnóstico de meduloblastoma aos 9 anos e, posteriormente, apresentou recidiva da doença. Diante de opções de tratamento extremamente limitadas, Fernando e o Dr. Packer decidiram criar um modelo diferente para impulsionar a pesquisa, centrado em colaboração, financiamento estratégico, responsabilidade científica e senso de urgência.

Em apenas 5 anos, a MBI demonstrou o que é possível quando cientistas, instituições, famílias e doadores se unem em torno de uma missão comum e de um novo modelo para acelerar a pesquisa. Somos profundamente gratos a todos que acreditaram neste esforço e o apoiaram. **Embora tenhamos alcançado avanços importantes, o caminho à frente ainda é longo. A continuidade da colaboração, do compromisso e do apoio será essencial para alcançarmos o que realmente importa: oferecer melhores tratamentos e, um dia, uma cura para as crianças com meduloblastoma.**

Social Media:

Instagram: @medulloblastomainitiative

LinkedIn: /medulloblastomainitiative

Site: www.mbinitiative.org

Contact:

James Graham

james.graham@mbinitiative.org

