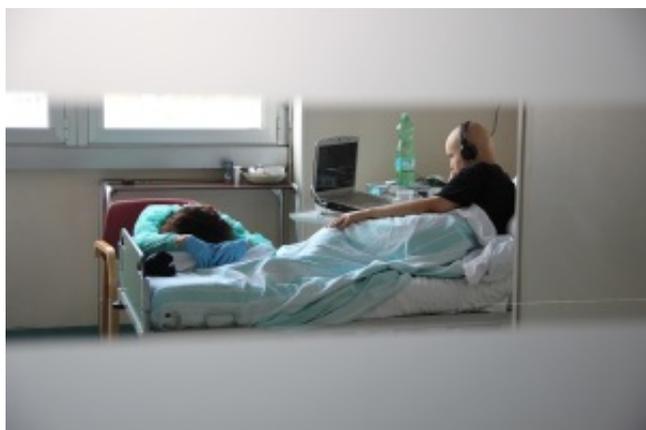




*Le statistiche evidenziano che oltre 1 soggetto su 1.000 adulti è un ‘sopravvissuto’ a un tumore che si è presentato durante l’infanzia o l’adolescenza. Di qui la necessità di puntare i riflettori sulle nuove soluzioni che la medicina sta sperimentando con successo per guarire sempre più bambini*



Piccolo paziente con la sua mamma (Credits - Andrea Ferrari)

Catania, 22 ottobre 2019 - Si è concluso il XLIV Congresso Nazionale medico e infermieristico dell’Associazione Italiana Ematologia e Oncologia Pediatrica (AIEOP), che si è tenuto al Monastero dei Benedettini del capoluogo di provincia siciliano.

La società scientifica nazionale, che da oltre 40 anni rappresenta l’ematologia e oncologia pediatrica italiana, ha chiamato a raccolta medici, biologi, ma anche radioterapisti, chirurghi pediatri, infermieri, psico-oncologi e fisioterapisti da tutta Italia per fare il punto della situazione sui temi principali afferenti alla sfera dell’oncologia e dell’ematologia del bambino e dell’adolescente, soffermandosi in particolare sulle ultime novità terapeutiche a disposizione per curare i piccoli pazienti con risultati soddisfacenti.

Le statistiche evidenziano che oltre 1 soggetto su 1.000 adulti è un ‘sopravvissuto’ a un tumore che si è presentato durante l’infanzia o l’adolescenza. Di qui la necessità di puntare i riflettori sulle nuove soluzioni che la medicina sta sperimentando con successo per guarire sempre più bambini.

A cominciare dalla immunoterapia innovativa che si avvale delle cellule CAR (da “chimeric antigen receptor”). Si tratta di ‘linfociti’ artificiali, non esistenti in natura, che vengono armati in laboratorio di un “recettore chimerico” in grado di riconoscere l’antigene CD19, espresso dalle cellule delle leucemie di linea B. Le cellule CAR sono delle ‘munizioni’ intelligenti, che hanno il compito di ‘distruggere’ i blasti linfoidi, cioè le cellule tumorali che esprimono il recettore CD19.



“I risultati del trattamento con cellule CAR - ha evidenziato la dott.ssa Adriana Balduzzi, membro del Consiglio Direttivo AIEOP - sono promettenti: le curve di sopravvivenza erano prima impensabili in fasi così avanzate di malattia. Nel prossimo futuro la terapia con cellule CAR verrà applicata nelle fasi più precoci di malattia e ci si attende che i risultati siano ancora migliori”.

“La terapia con CAR-T - ha evidenziato il dott. Marco Zecca, Presidente di AIEOP - apre nuove possibilità di cura per bambini affetti da leucemia linfatica acuta refrattaria/recidivata e altrimenti incurabile. La tossicità di questa terapia non è trascurabile. Sono richieste elevate competenze e risorse specialistiche per la gestione delle possibili complicanze per cui essa deve essere utilizzata solo in centri altamente specializzati”.

“La complicanza più attesa - ha aggiunto la dott.ssa Adriana Balduzzi, membro del Consiglio Direttivo AIEOP - è la sindrome da rilascio citochinico (CRS), un’infiammazione generalizzata che deriva dal rilascio nel sangue di fattori infiammatori, scatenato dalla distruzione delle cellule leucemiche da parte delle cellule CAR”.

Inoltre anche i linfociti B normali, cioè le cellule del sistema immunitario deputate alla produzione degli anticorpi e che esprimono il recettore CD19, vengono eliminati dalle CAR. Per tale motivo i pazienti trattati devono ricevere supplementazioni mensili di anticorpi o immunoglobuline”.

Notevoli sono anche i progressi compiuti dalla terapia genica per combattere le emoglobinopatie, in primis la “thalassemia major”, una malattia genetica diffusa nell'area mediterranea, dalla quale si stima che in Italia siano affetti circa 7.000 pazienti. La terapia tradizionale consiste nel ricevere trasfusioni ogni 2-3 settimane, a partire da poche settimane dopo la nascita e per tutta la vita, e farmaci per rimuovere dall'organismo il ferro in eccesso. Il trapianto di midollo osseo può guarire i pazienti affetti da “thalassemia major”, ma è gravato da un rischio di importante tossicità e limitato dalla difficoltà a trovare donatori compatibili.

I risultati dei più recenti trials clinici, presentati durante il congresso di AIEOP dal prof. Franco Locatelli - Direttore del Dipartimento di Onco-Ematologia e Terapia Cellulare e Genica dell’Ospedale Bambino Gesù di Roma - hanno mostrato quindi come la “thalassemia major” possa essere guarita per mezzo della terapia genica

L'inserimento attraverso un vettore retrovirale di un gene beta-globinico funzionante può normalizzare la produzione di globuli rossi e correggere completamente la gravissima anemia di questi malati. EMA, l'agenzia europea del farmaco, ha approvato infatti il trattamento anche per i pazienti di età superiore ai 12 anni e affetti da “thalassemia major” non beta0 / beta0.

“Il trattamento - ha annunciato il dott. Zecca - sarà disponibile anche in Italia dall'anno prossimo e finalmente rappresenterà una ulteriore concreta opzione terapeutica che potrà cambiare in maniera significativa la storia naturale di questa grave malattia”.

Anche per quanto riguarda il trattamento dei tumori solidi in oncologia pediatrica, il convegno AIEOP ha portato buone notizie: sono sempre più numerosi i nuovi farmaci ‘target’ (cioè diretti contro una specifica alterazione della cellula tumorale) disponibili per bambini e adolescenti.

L'esempio più interessante è la disponibilità di farmaci inibitori di NTRK, che è un gene che si trova riarrangiato come effetto di una traslocazione nota per essere specifica di un tumore - il fibrosarcoma infantile - ma che recentemente è stata identificata anche in altri tumori (come alcuni tipi di neoplasie cerebrali).

Data la loro straordinaria efficacia, gli inibitori specifici di NTRK sono oggi approvati - dall'EMA - con un'indicazione tumore-agnostica, cioè indipendente dal tipo di tumore, ma legata invece alla presenza della traslocazione.

“Oggi in Italia, nel contesto di protocolli specifici, sono disponibili - spiega il dott. Andrea Ferrari, membro del Consiglio Direttivo AIEOP - inibitori che agiscono su NTRK, ma anche su altri geni come ALK e ROS1. Queste nuove molecole aprono scenari importanti per il futuro, ma la loro disponibilità pone nuove sfide in termini organizzativi, proprio per la ricerca di questi target, che solo raramente fanno parte del percorso diagnostico di routine, ma che occorre imparare a cercare (anche in tumori dove fino a poco tempo fa non pensavamo potessero evidenziarsi, come i tumori cerebrali)”.

Significativo, infine, è stato il contributo della prof.ssa Beatrice Gulbis, docente di ematologia alla ULB – Università Libera di Bruxelles, che, nella sua lettura magistrale, ha spiegato l'importanza di EuroBloodNet, un network europeo, di cui è coordinatrice per la sezione non oncologica, che ha la mission di dare accesso al medesimo livello di cure altamente specializzate a tutti i cittadini europei affetti da malattie ematologiche rare. Anche i centri AIEOP stanno contribuendo a costruire questo network per una medicina sempre meno regionale.