

Sarcomi delle parti molli

Sarcomi dei tessuti molli ad alto rischio in fase localizzata degli arti e del tronco: approccio integrato con chemioterapia standard vs chemioterapia orientata per istotipo in fase neoadiuvante. Si tratta di uno studio clinico randomizzato di fase III rivolto a Pazienti con sarcomi dei tessuti molli ad alto rischio (STS). Lo studio consiste nella comparazione tra chemioterapia standard neoadiuvante con epirubicina più ifosfamide verso chemioterapia personalizzata in base alle caratteristiche istologiche tumorali. Vengono considerati cinque gruppi istologici (rappresentativi dell'80% dei STS): leiomioma sarcoma, liposarcoma mixoide con ipercellularità, sarcoma sinoviale, tumore maligno della guaina dei nervi periferici e sarcoma pleomorfo indifferenziato. Il trattamento chemioterapico istologicamente guidato per questi gruppi consiste rispettivamente in gemcitabina più dacarbazina, trabectedina, ifosfamide ad alte dosi, ifostamide più etoposide, gemcitabina più docetaxel. Altri gruppi istologici vengono inclusi, ma trattati solo con chemioterapia standard. Si tratta di uno studio multicentrico, internazionale europeo, nell'ambito del quale verranno randomizzati 300 pazienti in 3 anni.

Studio di fase 2 per valutare l'attività di crizotinib (PF-02341066) in Pazienti portatori di diverse tipologie di tumori maligni indotti da alterazioni di ALK e/o di MET, in stadio avanzato di malattia ("CREATE"). Questo studio è rivolto a Pazienti a cui è stata diagnosticata una delle sei forme rare di tumore tra: linfoma anaplastico a grandi cellule, tumore miofibroblastico infiammatorio, carcinoma papillare a cellule renali di tipo 1, sarcoma alveolare delle parti molli, sarcoma a cellule chiare, rhabdomyosarcoma alveolare. Caratteristica comune a queste diverse neoplasie è la possibile presenza di alterazioni molecolari a carico di due proteine coinvolte nella crescita tumorale: "ALK" e/o "MET". Si prevede che partecipino a questo studio Pazienti con malattia in fase avanzata, non suscettibili di trattamento chirurgico, nè di altro trattamento medico sistemico convenzionale potenzialmente efficace, secondo quanto previsto in ogni singolo istotipo. Crizotinib (PF-02341066) è un farmaco antitumorale orale sperimentale, già approvato per essere utilizzato nei carcinomi polmonari in fase avanzata di malattia, detto ad attività molecolare mirata, cioè diretto contro alcune proteine che possono essere espresse dalla cellula tumorale e il cui coinvolgimento è importante nella crescita della malattia. In particolare, i dati ad oggi disponibili suggeriscono che crizotinib è in grado di impedire la crescita del tumore in Pazienti affetti da neoplasie che presentano alterazioni specifiche a carico di ALK e/o di MET.

Studio di fase II in aperto su pazopanib in monoterapia in Pazienti affetti da tumore fibroso solitario o condrosarcoma mixoide extrascheletrico, in fase avanzata di malattia (malattia localmente avanzata non resecabile o metastatica). Si tratta di uno studio in aperto di fase II che prevede l'utilizzo di un farmaco chiamato pazopanib in Pazienti con diagnosi di tumore fibroso solitario o di condrosarcoma mixoide extrascheletrico e portatori di una malattia che non può essere asportata chirurgicamente e/o malattia metastatica. Lo studio viene condotto a livello internazionale (in Spagna, Italia e Francia) e si prevede la partecipazione di un totale di circa 70 Pazienti. Il trattamento in studio consiste nell'assunzione di pazopanib, in modo continuativo, fino alla progressione della malattia o sviluppo di tossicità inaccettabile. L'obiettivo principale dello studio è quello di studiare l'efficacia del farmaco pazopanib in Pazienti con tumore fibroso solitario e condrosarcoma extrascheletrico mixoide.

Studio di fase II su trabectedina nei leiomiomi sarcomi e nei liposarcomi ben differenziati/dedifferenziati del retroperitoneo in fase avanzata. Questo è uno studio di fase II non randomizzato, multicentrico, italiano sull'attività di trabectedina in pazienti affetti da leiomioma sarcoma o liposarcoma ben differenziato-dedifferenziato del retroperitoneo localmente esteso, già pretrattati con almeno una linea di chemioterapia. Lo studio sarà condotto in Italia in circa 20 centri al fine di reclutare 95 pazienti, in un periodo di 2-3 anni.

Studio di fase 2 su axitinib nel tumore fibroso solitario in fase avanzata di malattia. Lo studio si propone di esplorare l'attività di axitinib in Pazienti affetti da tumore fibroso solitario VEGFR e/o PDGFRB positivo. I tumori fibrosi solitari sono un sottogruppo raro nell'ambito dei "sarcomi dei tessuti molli". Lo studio prevede il trattamento con axitinib di Pazienti che necessitino di una terapia medica, perché portatori di una malattia non operabile e/o di un'estensione di malattia a distanza, che abbiano o che non abbiano già ricevuto in precedenza altri trattamenti medici, poiché la probabilità di risposta alla chemioterapia tradizionalmente utilizzata nel trattamento dei sarcomi dei tessuti molli è molto limitata in questo tipo di sarcoma. Axitinib è un farmaco detto "ad azione molecolare mirata", cioè diretto contro alcune proteine che possono essere espresse dalla cellula tumorale e il cui coinvolgimento è importante nella crescita della malattia. In particolare axitinib è diretto contro alcune proteine coinvolte nella crescita dei vasi all'interno del tumore tra cui VEGFR e, in misura minore, PDGFRB, la cui espressione può essere messa in evidenza nella maggior parte dei tumori fibrosi solitari. Non sono ad oggi disponibili risultati sulla attività di axitinib in questo tumore, ma vi sono alcuni dati preliminari che hanno mostrato come il tumore fibroso solitario possa rispondere ad altri farmaci antiangiogenici come sunitinib, bevacizumab e sorafenib. Axitinib è peraltro un farmaco già studiato in altri tumori, e che si è già dimostrato attivo nel trattamento del carcinoma del rene in fase avanzata di malattia, indicazione per cui ne è stato approvato l'utilizzo. Lo studio verrà condotto in un solo centro italiano presso la Fondazione IRCCS Istituto Nazionale dei tumori di Milano e prevede l'arruolamento di 16 pazienti in circa 24 mesi.

Studio randomizzato di fase II per la valutazione di cabazitaxel o ifosfamide in infusione prolungata nel trattamento del liposarcoma dedifferenziato metastatico o inoperabile localmente avanzato. Si tratta di uno studio multicentrico internazionale, in aperto, di fase II, in cui i pazienti affetti da liposarcoma dedifferenziato metastatico o inoperabile localmente avanzato saranno randomizzati tra due bracci di trattamento paralleli con singolo agente, cabazitaxel o infusione prolungata di ifosfamide. Lo studio sarà condotto in 20 centri europei di cui 2 centri italiani. Lo studio prevede l'arruolamento di 100 Pazienti totali, 50 per braccio di trattamento. La Fondazione IRCCS Istituto Nazionale dei Tumori di Milano è coinvolta come centro coordinatore in Italia. L'ente promotore di questo studio è l'EORTC (European Organisation for Research and Treatment of Cancer).

Tumori maligni della guaina dei nervi periferici in una coorte multicentrica di pazienti con neurofibromatosi di tipo 1. L'obiettivo generale dello studio è ottenere un quadro più chiaro sull'associazione tra la neurofibromatosi di tipo 1 (NF1) e il tumore maligno della guaina dei nervi periferici (MPNST) al fine di migliorare le cure, in particolare per quanto riguarda la morbilità e la mortalità a causa di MPNST, e di sviluppare una proposta di screening per i Pazienti adulti affetti da NF1. Sui Pazienti con NF1 e MPNST con diagnosi successiva al 2000, trattati presso la Fondazione, sarà eseguita un'analisi retrospettiva di dati riguardanti le caratteristiche del Paziente (sesso, l'età alla diagnosi di NF1, l'età alla diagnosi di MPNST, l'età attuale e status di sopravvivenza). Inoltre saranno raccolti dati concernenti la diagnosi di NF1 e tutte le complicazioni della NF1, tra cui il MPNST, e tutte le terapie assunte e le differenze dei metodi di follow-up utilizzati per i pazienti adulti tra i diversi centri partecipanti. Saranno raccolti per questo studio i dati di 100 pazienti in circa 7 mesi in 5 centri Europei.

Sarcomi dell'utero

Studio di fase II, randomizzato ma non comparativo, per valutare l'attività di trabectedina oppure gemcitabina + docetaxel in pazienti affette da leiomioma dell'utero in recidiva locale o a distanza e pretrattate con chemioterapia convenzionale. Il farmaco trabectedina è stato approvato per il trattamento dei sarcomi delle parti molli. Questo studio vuole raccogliere informazioni più specifiche sull'efficacia della trabectedina nella terapia del leiomioma dell'utero (un tipo particolare di sarcoma delle parti molli). In questo studio è previsto che alcune pazienti vengano trattate con l'altro schema approvato per questa malattia (gemcitabina + docetaxel) allo scopo di poter meglio caratterizzare l'utilità della trabectedina. Lo studio prevede la partecipazione di circa 20 centri in Italia e l'arruolamento di 109 nel braccio di trattamento con trabectedina e 40 pazienti nel braccio di trattamento con gemcitabina+docetaxel

Studio randomizzato, in doppio cieco, di fase II per la valutazione del ruolo della terapia di mantenimento con cabozantinib nel sarcoma uterino indifferenziato di grado elevato (HGUS) dopo la stabilizzazione o la risposta a doxorubicina +/- ifosfamide a seguito di intervento chirurgico o nel trattamento di prima linea della malattia metastatica. L'obiettivo primario dello studio è valutare l'efficacia in termini di sopravvivenza libera da progressione del trattamento di mantenimento con cabozantinib rispetto al placebo, dopo un beneficio clinico ottenuto con la chemioterapia standard (doxorubicina +/- ifosfamide) in Pazienti portatrice di sarcoma uterino indifferenziato, con malattia localmente avanzata/metastatica. L'ente promotore di questo studio è l'EORTC (European Organisation for Research and Treatment of Cancer).

Rabdomiosarcoma tipo infantile

Rabdomiosarcoma tipo infantile (alveolare/embrionale) dell'adulto – Studio osservazionale prospettico. Questo è uno studio osservazionale, prospettico, multicentrico, che si propone di registrare e studiare tutti i casi di rabdomiosarcoma localizzato e metastatico afferenti agli istituti partecipanti, membri dell'Italian Sarcoma Group e/o della Rete Tumori Rari, in un intervallo di 3 anni. Per studio "osservazionale" si intende uno studio nel quale i medicinali sono prescritti secondo le indicazioni standard, cioè secondo la pratica clinica. I Pazienti che partecipano a questo studio non ricevono nessuna procedura supplementare di diagnosi, terapia e follow-up, ma semplicemente verranno raccolti prospetticamente i dati relativi alla malattia, al trattamento, alla prognosi ed eventuali sequele dei trattamenti.

Sarcomi dell'osso - Osteosarcoma

Espressione di ABCB1/P-glycoprotein come fattore per la stratificazione biologica dell'osteosarcoma non metastatico delle estremità: Studio prospettico. (ISG/OS-2) Questo è uno studio osservazionale, prospettico, multicentrico, nazionale, rivolto a Pazienti con osteosarcoma delle estremità in fase localizzata. Lo studio si propone di raccogliere informazioni relative all'applicazione di trattamenti standard, stratificati sulla base dell'espressione tumorale di un marcatore biologico il cui nome è proteina P170 (PGlycoprotein, abbreviato in ABCB1/P-glycoprotein), che da analisi retrospettive parrebbe avere un ruolo prognostico nell'osteosarcoma. La durata prevista dello studio è di 5 anni e parteciperanno a questa ricerca almeno 225 pazienti .

Osteosarcoma a partenza da sedi atipiche e/o non candidabili a studi clinici ISG in corso

Questo è uno studio osservazionale, prospettico, multicentrico, che si propone di registrare e studiare tutti i casi di osteosarcoma, localizzato e metastatico, a sede primitiva atipica, afferenti agli istituti partecipanti, membri dell'Italian Sarcoma Group e/o della Rete Tumori Rari, in un intervallo di 5 anni. Lo scopo è studiare la storia clinica e prognosi dei pazienti. In questo studio non è previsto nessun trattamento sperimentale. I pazienti che vi parteciperanno saranno trattati secondo gli schemi terapeutici standard.

Studio di fase 2 multicentrico e in aperto su denosumab in soggetti con tumore osseo a cellule giganti . Si tratta di uno studio internazionale di fase II, multicentrico, in aperto, sull'attività e il profilo di sicurezza di denosumab in pazienti portatori di tumore a cellule giganti dell'osso, ad estensione locale limitata, non resecabile o resecabile solo con chirurgia demolitiva, in progressione. Obiettivo ulteriore dello studio è valutare la proporzione di pazienti in cui il trattamento ha permesso un recupero della chirurgia conservativa, anche solo in termini funzionali.

Sarcomi dell'osso-Sarcoma di Ewing

Protocollo terapeutico con chemioterapia ad alte dosi, radioterapia, terapia di mantenimento con ciclofosfamide a basse dosi e anti-COX 2 per sarcoma di Ewing metastatico: studio ISG/AIEOP.

Questo è uno studio clinico rivolto a Pazienti di età minore o uguale a 40 anni, affetti da sarcoma di Ewing con metastasi all'esordio di malattia. E' uno studio di fase II in aperto, non randomizzato. L'inizio del piano di cura prevede di valutare l'attività in prima linea di due farmaci, temozolomide e irinotecan, attualmente in uso come regime di seconda o ulteriore linea chemioterapica. A questa prima fase di induzione seguirà quindi una chemioterapia standard, una radioterapia sulla sede primitiva del tumore e, in relazione alla risposta, una fase di consolidamento con chemioterapia ad alte dosi di busulfano e melfalan, seguita da reinfusione delle cellule staminali ematopoietiche. In presenza di malattia polmonare verrà inoltre proposta una radioterapia sui polmoni. Al termine Del trattamento una seconda fase sperimentale dello studio valuterà l'impatto di una terapia di mantenimento con celebrex e ciclofosfamide per bocca. E' previsto che partecipi a questo studio clinico un totale di circa 36 pazienti, per una durata complessiva dello studio di 4 anni.

Studio di fase III sull' efficacia dell' intensificazione della dose in pazienti con sarcoma di Ewing non metastatico (ISG/AIEOP EW-1).

Studio di fase 3 rivolto a Pazienti di età minore o uguale a 40 anni con sarcoma di Ewing non metastatico. I pazienti che partecipano a questo studio vengono randomizzati a ricevere due diversi trattamenti di induzione con farmaci attivi nell'istotipo: un trattamento standard e un trattamento intensificato. Il trattamento locale raccomandato è di tipo chirurgico ove possibile. Il trattamento radioterapico esclusivo è riservato ai casi per i quali, dopo l' induzione, non è giudicato fattibile l'intervento chirurgico. E'previsto il reclutamento di 220 Pazienti in 5 anni in diversi centri in Italia.

Valutazione della metilazione del promotore di MGMT e beneficio clinico da terapia basata su temozolomide in pazienti con sarcoma di Ewing in fase avanzata.

Si tratta di uno studio osservazionale, multicentrico, che si propone di registrare e studiare le caratteristiche cliniche e quelle correlate al trattamento con temozolomide ed irinotecan, somministrati secondo la pratica clinica, in pazienti affetti da sarcoma di Ewing. Lo studio prevede sia un'analisi retrospettiva sui Pazienti che hanno già ricevuto temozolomide e irinotecan in un contesto di trattamento clinico, che un'analisi prospettica che valuterà i casi dei Pazienti che riceveranno il medesimo trattamento nel corso della durata dello studio. L'obiettivo primario dello studio è quello di valutare lo stato di metilazione del promotore del gene MGMT in pazienti affetti da sarcoma di Ewing in trattamento con temozolomide. Lo stato di metilazione verrà correlato con i dati clinici di malattia e di risposta al trattamento.

Tumori stromali gastrointestinali (GIST)

Ottimizzazione della valutazione della risposta nel tumore stromale gastrointestinale utilizzando Dual-Energy CT: studio prospettico multicentrico, multinazionale, in pazienti sottoposti a terapia mirata con un inibitore delle tirosin-chinasi

Scopo di questo studio sperimentale è valutare la risposta tumorale nei Pazienti affetti da tumore stromale gastrointestinale (GIST) in fase avanzata, trattati con inibitori delle tirosin-chinasi. La valutazione della risposta tumorale sarà effettuata utilizzando come metodica la “Dual-Energy CT” (DECT), una nuova tecnica di esecuzione della tomografia computerizzata (TC) prevista dal protocollo ed implementata presso la nostra struttura, che sarà in grado di caratterizzare specificamente i cambiamenti nella risposta tumorale in corso di terapia con inibitori della tirosin-chinasi. La durata dello studio sarà di 5 anni, di cui 2 per l'arruolamento dei Pazienti e 3 anni per il follow-up ed è previsto un reclutamento di 90 pazienti totali.

Altri studi

Studio della fertilità in giovani donne adulte affette da linfoma o da sarcoma che scelgono di sottoporsi alla procedura di preservazione della fertilità mediante crioconservazione di ovociti maturi. Lo studio si prefigge di valutare, mediante un'accurata raccolta dei dati clinici la fattibilità della procedura di criopreservazione degli ovociti maturi, in giovani donne affette da linfoma di Hodgkin, linfoma non-Hodgkin o da sarcoma, candidate ad essere sottoposte a CT +/- RT, che avranno scelto di sottoporsi a una procedura di preservazione della fertilità. Successivamente, per le pazienti che avranno deciso di affrontare una gravidanza, verranno anche raccolti i dati relativi al numero di gravidanze ottenute, numero di nati vivi, peso alla nascita e incidenza di anomalie congenite. In totale saranno reclutate in questo studio 30 pazienti. Lo studio durerà circa 7 anni.

Tailored Beta-catenin mutational approach in extra-abdominal sporadic desmoids tumor patients

Lo studio si prefigge di valutare l'attività del farmaco Toremifene in Pazienti con tumore desmoide sporadico, non correlato a sindromi genetiche (tipo FAP) primitivo. Toremifene fa parte della famiglia degli antiestrogeni come Tamoxifene, utilizzato più comunemente nel trattamento del tumore desmoide. E' previsto che partecipi a questo studio un massimo di 25-30 pazienti per una durata complessiva di circa 36 mesi.