

RABDOMIOSARCOMA

NUOVO STANDARD DI CURA CON COMBINAZIONE A BASSE DOSI MIGLIORA LA SOPRAVVIVENZA DEI GIOVANI PAZIENTI AFFETTI DA QUESTO TUMORE RARO

- *La terapia continuativa a basse dosi studiata negli scorsi anni dai ricercatori dell'Istituto dei Tumori di Milano (INT), è diventata oggi lo standard di cura, in aggiunta ai classici cicli di chemioterapia.*
- *Lo dimostra lo studio condotto dal gruppo europeo EpSSG (European Paediatric Soft Tissue Sarcoma Study Group), pubblicato su Lancet Oncology¹, nel quale l'INT ricopre un ruolo trainante. Il gruppo EpSSG include 14 nazioni e oltre 100 centri².*
- *Il rhabdomyosarcoma è un tumore raro maligno dell'età pediatrica, che conta circa 50-60 casi all'anno e una probabilità di guarigione intorno al 70%.*

Milano, 14 ottobre 2019 - Cambia il paradigma del trattamento del rhabdomyosarcoma, uno dei tumori rari che colpisce in età pediatrica. Lo **European Paediatric Soft Tissue Sarcoma Study Group** (EpSSG) ha pubblicato su *Lancet Oncology* i risultati dello **studio RMS 2005**, che dimostrano come la terapia di mantenimento con i farmaci vinorelbina e ciclofosfamide orale a basse dosi - somministrata per 6 mesi, in aggiunta alla chemioterapia standard (9 cicli di terapia più chirurgia e radioterapia) - guarisca un numero maggiore di pazienti, rispetto alla sola terapia classica.

Lo studio condotto dal 2006 al 2016, su quasi **400 pazienti** di età inferiore ai 21 anni, ha evidenziato una **sopravvivenza a 5 anni del 86.5%** per i pazienti trattati con il mantenimento, e del **73.7%** per quelli che invece sospendevano il trattamento dopo la terapia classica.¹ Inoltre, la terapia di mantenimento si è rivelata ben tollerata e con pochi effetti tossici acuti di rilievo.

*“Si tratta di un risultato estremamente importante, definito dalla stampa americana un “home run” – dice **Andrea Ferrari, Oncologo pediatra dell'Istituto Nazionale dei Tumori di Milano, membro fondatore di EpSSG** e senior author dello studio – perché nessun altro trial internazionale randomizzato, da oltre 30 anni, aveva mai permesso di evidenziare un miglioramento della sopravvivenza con il braccio sperimentale. Il risultato ottenuto cambia il paradigma del trattamento di questa malattia: ora, infatti, la terapia di mantenimento diventa lo standard di cura in tutto il mondo. Inoltre, lo studio dimostra come nei tumori rari, come il rhabdomyosarcoma, e quindi come in tutti i tumori pediatrici, solo attraverso la collaborazione internazionale sia possibile realizzare studi clinici capaci di dimostrare l'efficacia di una nuova cura. Il gruppo EpSSG include 14 nazioni e oltre 100 centri” – continua **Ferrari**. Non è semplice mettere insieme tante teste, spesso con idee diverse. Ma l'obiettivo è uno solo: guarire sempre più bambini. Il segreto del successo è lavorare insieme”.*

Nell'EpSSG, l'Istituto Nazionale dei Tumori ha un ruolo trainante, non solo perché è il Centro che ha arruolato il maggior numero di pazienti nel protocollo, ma anche perché è dove è nata l'idea ed è stata sperimentata per la prima volta la terapia di mantenimento.

¹ Bisogno G, De Salvo GL, Bergeron C, Gallego Melcón S, Merks JH, Kelsey A, Martelli H, Minard-Colin V, Orbach D, Glosli H, Chisholm J, Casanova M, Zanetti I, Devalck C, Ben-Arush M, Mudry P, Ferman S, Jenney M, Ferrari A; European paediatric Soft tissue sarcoma Study Group. Vinorelbine and continuous low-dose cyclophosphamide as maintenance chemotherapy in patients with high-risk rhabdomyosarcoma (RMS 2005): a multicentre, open-label, randomised, phase 3 trial. *Lancet Oncol.* 2019 Sep 24. pii: S1470-2045(19)30617-5. doi: 10.1016/S1470-2045(19)30617-5.

² Ferrari A, Trama A, De Paoli A, Bergeron C, Merks JHM, Jenney M, Orbach D, Chisholm JC, Gallego S, Glosli H, De Salvo GL, Botta L, Gatta G, Bisogno G. Access to clinical trials for adolescents with soft tissue sarcomas: enrolment in European paediatric Soft tissue sarcoma Study Group (EpSSG) protocols. *Pediatr Blood Cancer*, 64(6), 2017. doi: 10.1002/pbc.26348

*“Questo studio dimostra come si possano ottenere grandi risultati utilizzando con “creatività”, cioè in modo nuovo, farmaci vecchi - racconta **Michela Casanova, Oncologa pediatra INT e responsabile del comitato sui nuovi farmaci dell’EpSSG.** “Piccole dosi di farmaci somministrate in modo continuativo sono meglio tollerate dai pazienti e possono attivare meccanismi di azione diversi, agendo nel caso del rhabdomyosarcoma sull’angiogenesi tumorale. Partendo da questa idea, diversi anni fa abbiamo condotto due studi, uno con la sola vinorelbina³ e uno in combinazione con la ciclofosfamida⁴. Il protocollo europeo è partito da questi due studi realizzati qui in Istituto e oggi offre alla comunità scientifica internazionale una terapia straordinariamente efficace”.*

Per approfondimenti è possibile consultare: www.istitutotumori.mi.it



Andrea Ferrari

Lavora presso la Pediatria Oncologica INT dal 1994, dove è responsabile del Day-Hospital/Ambulatorio Pediatrico e del Progetto Giovani dedicato agli adolescenti. Si occupa dei protocolli di ricerca relativi ai sarcomi delle parti molli, ai tumori rari e alle problematiche dei pazienti adolescenti. Ha diversi ruoli di coordinatore di gruppi di lavoro e protocolli nazionali e internazionali. È autore di quasi 400 articoli pubblicati su riviste internazionali.



Michela Casanova

Responsabile presso la Pediatria Oncologica della Fondazione IRCCS Istituto Nazionale dei Tumori per la ricerca sui nuovi farmaci, ricopre un ruolo chiave nelle società europee EpSSG (European Pediatric Soft Tissue sarcoma Study Group) e ITCC (Innovative Therapies for Children with Cancer). Si occupa principalmente dell’introduzione di nuovi farmaci nel trattamento dei sarcomi. È principal investigator in numerosi studi internazionali.

PER INFORMAZIONI ALLA STAMPA

Noesis s.r.l. Tel. 02 8310511 - Cell. 348 1511488 - Mail: int@noesis.net

Antonella Romano, antonella.romano@noesis.net

Samanta Iannoni, samanta.iannoni@noesis.net

³ Casanova M, Ferrari A, Spreafico F, Terenziani M, Massimino M, Luksch R, Cefalo G, Polastri D, Marcon I, Fossati Bellani F. Vinorelbine in previously treated advanced childhood sarcomas: evidence of activity in rhabdomyosarcoma. Cancer 2002; 94: 3263-68.

⁴ Casanova M, Ferrari A, Bisogno G, Merks JH, De Salvo GL, Meazza C, Tettoni K, Provenzi M, Mazzarino I, Carli M. Vinorelbine and low-dose cyclophosphamide in the treatment of pediatric sarcomas: pilot study for the upcoming European Rhabdomyosarcoma Protocol. Cancer 2004; 101: 1664-71.