

Neuroblastoma ad alto rischio recidivo: la sopravvivenza non supera il 15 per cento a tre anni dall'evento

Dato riferito all'Italia su 15-20 bambini che recidivano ogni anno. Per terapie personalizzate attivo il programma PREME, coordinato dal "Gaslini" di Genova e promosso dall'Associazione Italiana per la Lotta al Neuroblastoma

Circa il 30 per cento dei bambini con neuroblastoma ad alto rischio sviluppa una recidiva (la ricomparsa della malattia) entro i primi due anni dalla fine del trattamento. Più in particolare, in Italia circa 15-20 bambini con neuroblastoma ad alto rischio recidivano ogni anno: per questi casi, la sopravvivenza non supera il 15 per cento a tre anni dall'evento. Dunque, si tratta di una delle forme più gravi di neuroblastoma, il più frequente tumore solido extra-cranico in età pediatrica.

Per questo tipo di neuroblastoma è importante lo studio delle mutazioni nei geni per terapie personalizzate volte a colpire in modo mirato le cellule malate sulla base di quelle stesse mutazioni e caratteristiche. Un ramo di ricerca tra quelli promossi dall'Associazione Italiana per la Lotta al Neuroblastoma che contribuisce a sostenere il programma PREME coordinato dall'istituto "Gaslini" di Genova.

Più in dettaglio, lo studio dei geni, la cosiddetta profilazione genomica, guardando alle mutazioni come bersaglio a scopo terapeutico, è "fortemente caldeggiata" nei "Suggerimenti per la gestione e trattamento di una recidiva di neuroblastoma", documento approvato a marzo 2024 e a cura del Gruppo di Lavoro Neuroblastoma di AIEOP, Associazione Italiana Ematologia Oncologia Pediatrica.

Dal documento AIEOP emerge che ogni anno in Italia si registrano circa 130-140 nuovi casi di neuroblastoma e la sopravvivenza complessiva riferita al panorama nazionale è di circa il 75 per cento a tre anni dalla diagnosi. Nello specifico, per le forme a rischio basso o intermedio si osserva un livello di sopravvivenza superiore all'80 per cento, mentre per le forme ad alto rischio è di circa il 45 per cento.

Risultati ottenuti grazie alla sempre migliore conoscenza della malattia, alla definizione di fasce di rischio più precise e all'applicazione di protocolli terapeutici internazionali sempre più articolati.

Ma ci sono altri passi da compiere, ad esempio per i casi di neuroblastoma ad alto rischio recidivi, per come emerge dalle percentuali di sopravvivenza. Intanto, per favorire una rete di collaborazione sul

piano dei percorsi terapeutici, AIEOP ha promosso la costituzione di un gruppo di esperti, un board scientifico, per il trattamento delle recidive di neuroblastoma ad alto rischio: un “tumor board” nazionale coordinato dal medico pediatra del “Gaslini” Massimo Conte, socio AIEOP, vicepresidente dell’Associazione Italiana per la Lotta al Neuroblastoma e coordinatore dello studio PREME.

Lo studio delle mutazioni nei geni e il programma PREME

Come avverte il Gruppo di Lavoro Neuroblastoma AIEOP nei suoi Suggerimenti, “un tumore che recidiva modifica il suo assetto genomico”. Più in particolare, il neuroblastoma “in alcuni casi (circa il 15%) alla ripresa della malattia”, cioè con la recidiva, “può presentare mutazioni” bersagliabili con farmaci “attualmente disponibili in commercio che possono essere utilizzati in associazione o meno a chemioterapia”. Da qui l’importanza di poter sottoporre tutte le bambine e i bambini con recidiva di neuroblastoma allo studio PREME sostenuto dall’Associazione Italiana per la Lotta al Neuroblastoma.

L’associazione con simbolo il “Bambino con l’Imbuto è, infatti, attiva con diverse iniziative di raccolta fondi rappresentate, ad esempio, dalla campagna di Natale “Dono Ricerca. RiDono la vita” per sostenere i progetti selezionati e finanziati dal suo ramo scientifico, la Fondazione Italiana per la Lotta al Neuroblastoma.

Tra i progetti promossi e co-finanziati dalla fondazione, c’è il programma PREME, “PeRsonalizEd Medicine”, per una medicina personalizzata. Si tratta di un protocollo multicentrico coordinato e finanziato dall’istituto pediatrico “Gaslini” di Genova con la partecipazione di altri centri come il centro di biotecnologie avanzate CEINGE di Napoli.

Con questo programma si è in grado di fornire in poche settimane i risultati dello studio genomico del tumore in modo da individuare e proporre ai centri di cura terapie personalizzate per ogni bambina e bambino, in base alle mutazioni nei geni riscontrabili nei casi di recidiva o anche all’esordio della malattia.

Il programma PREME è tra i progetti riconfermati nel nuovo piano strategico della Fondazione Italiana per la Lotta al Neuroblastoma approvato per il 2025-2028. Ciò, per continuare a investire in rami innovativi della ricerca scientifica italiana e favorire lo sviluppo di nuove terapie.

L’Associazione Italiana per la Lotta al Neuroblastoma

L’associazione nasce il 23 luglio del 1993 scegliendo come sua sede legale e “naturale” l’istituto Giannina Gaslini di Genova. Le sue origini si legano alla volontà di madri e padri che hanno vissuto l’esperienza della malattia delle proprie figlie e dei propri figli, ma anche su impulso di oncologi frustrati dagli scarsi

successi terapeutici ottenibili in quegli anni. Dal 1996, l'associazione è presieduta da Sara Costa, socia fondatrice e mamma di Luca, bambino non sopravvissuto alla malattia.

Nel 1998, sempre con sede legale al "Gaslini", nasce invece la Fondazione Italiana per la Lotta al Neuroblastoma, ramo scientifico dell'associazione deputato a selezionare e a finanziare i progetti approvati.

L'associazione si propone di promuovere progetti scientifici per la cura del neuroblastoma e dei tumori cerebrali pediatrici. Da qui anche il piano strategico 2025-2028 a sostegno di filoni di ricerca innovativi.

Le iniziative di raccolta fondi sono tante. Si tratta di attività basate sulla logica di rete, di cooperazione, sull'impegno di madri e padri attivi in diverse parti d'Italia, di molte altre persone desiderose di fare la propria parte, ma anche di realtà istituzionali e di aziende, sempre con l'obiettivo comune di dare un motivo di speranza in più alle bambine e ai bambini in attesa di nuove cure.

Le iniziative dell'associazione come, ad esempio, le tradizionali campagne di Natale e di Pasqua sono caratterizzate dal marchio "Donare con fiducia", conferito dall'Istituto Italiano della Donazione (IID) secondo percorsi di certificazione annuale attestanti trasparenza, efficacia e correttezza.

Il "Bambino con l'imbuto" contraddistingue il logo dell'associazione: un'immagine di gioia nonostante il dolore; la gioia dell'infanzia da incoraggiare anche attraverso la ricerca.

<https://www.picusonline.it/it/pagine/3FF1114A-07D4-4ED0-988B-45AF9A9AE3F7,B6A14620-EA5F-11EB-A0DC-FE7BA12B91FC,333D1CA4-BOA5-11EF-BB15-089FD7908C71/>

Lo studio delle mutazioni nei geni e il programma PREME

Come avverte il Gruppo di Lavoro Neuroblastoma AIEOP nei suoi Suggerimenti, "un tumore che recidiva modifica il suo assetto genomico". Più in particolare, il neuroblastoma "in alcuni casi (circa il 15%) alla ripresa della malattia", cioè con la recidiva, "può presentare mutazioni" bersagliabili con farmaci "attualmente disponibili in commercio che possono essere utilizzati in associazione o meno a chemioterapia". Da qui l'importanza di poter sottoporre tutte le bambine e i bambini con recidiva di neuroblastoma allo studio PREME sostenuto dall'Associazione Italiana per la Lotta al Neuroblastoma.

L'associazione con simbolo il "Bambino con l'imbuto" è, infatti, attiva con diverse iniziative di raccolta fondi rappresentate, ad esempio, dalla campagna di Natale "Dono Ricerca. RIDono la vita" per sostenere i progetti selezionati e finanziati dal suo ramo scientifico, la Fondazione Italiana per la Lotta al Neuroblastoma.

Tra i progetti promossi e co-finanziati dalla fondazione, c'è il programma PREME, "Personalized Medicine", per una medicina personalizzata. Si tratta di un protocollo multicentrico coordinato e finanziato dall'istituto pediatrico "Gaslini" di Genova con la partecipazione di altri centri come il centro di biotecnologie avanzate CEINGE di Napoli.

Con questo programma si è in grado di fornire in poche settimane i risultati dello studio genomico del tumore in modo da individuare e proporre ai centri di cura terapie personalizzate per ogni bambina e bambino, in base alle mutazioni nei geni riscontrabili nei casi di recidiva o anche all'esordio della malattia.

Il programma PREME è tra i progetti riconfermati nel nuovo piano strategico della Fondazione Italiana per la Lotta al Neuroblastoma approvato per il 2025-2028. Ciò, per continuare a investire in rami innovativi della ricerca scientifica italiana e favorire lo sviluppo di nuove terapie.

L'Associazione Italiana per la Lotta al Neuroblastoma

L'associazione nasce il 23 luglio del 1993 scegliendo come sua sede legale e "naturale" l'Istituto Giannina Gaslini di Genova. Le sue origini si legano alla volontà di madri e padri che hanno vissuto l'esperienza della malattia delle proprie figlie e dei propri figli, ma anche su