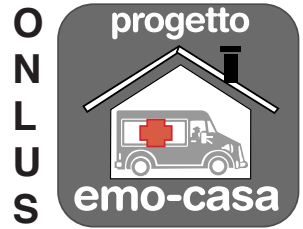


# Emoflash



Spedizione in abbonamento postale comma 20/c legge 622/96 - filiale di Milano

**N O T I Z I A R I O • ANNO XXII - N. 12 - DICEMBRE 2019**

**ORGANO UFFICIALE DELL' ASSOCIAZIONE "PROGETTO EMO-CASA ONLUS"**



**Agli utenti, amici e sostenitori  
di Progetto Emo-Casa,  
auguriamo  
Buon Natale  
e felice Anno Nuovo.**

**Che questi siano giorni sereni di festa,  
circondati dall'affetto dei propri cari.  
Auguriamo Buon Natale ai ricercatori  
di tutto il mondo che, grazie a loro,  
si stanno facendo passi da gigante  
per alleviare le molte sofferenze.  
Auguriamo Buon Natale ai volontari  
che, in questi giorni, si renderanno  
disponibili nell'assistenza ai più bisognosi.  
Auguri particolari a tutti i malati  
che abbiano sempre l'affetto  
dei loro cari e degli amici  
per un futuro migliore.**

800 591147



## Leucemia mieloide acuta recidivante con mutazione FLT3, approvazione europea per il gilteritinib

*Approvazione europea per il farmaco ematologico gilteritinib per il trattamento di pazienti adulti con leucemia mieloide acuta recidivante o refrattaria che presentano mutazioni del gene FLT3 (FLT3-positiva o FLT3+). Sviluppato da Astellas, il farmaco sarà messo in commercio con il marchio Xospata. Si somministra una volta al giorno per via orale e in monoterapia*

**C**irca il 25-30% dei pazienti con leucemia mieloide acuta presenta una mutazione nel gene FLT3 e queste mutazioni sono associate a una forma particolarmente aggressiva della malattia. Le duplicazioni tandem interne di FLT3 sono associate a tassi elevati di ricaduta, remissioni di breve durata e scarsi risultati di sopravvivenza.

Sviluppato da Astellas, gilteritinib è un inibitore di seconda generazione diretto contro il recettore FLT3 mutato sia come internal tandem duplication sia come mutazione puntiforme, recentemente registrato sia dalla Food and Drug Administration e dall'ente regolatorio giapponese.

«Il farmaco è stato registrato alla luce delle recenti acquisizioni di uno studio di prossima pubblicazione che hanno dimostrato come la metà dei pazienti, circa il 47%, ottiene una risposta completa ematologica» ha dichiarato ai microfoni di PharmaStar **Giovanni Martinelli**, Direttore Scientifico dell'Istituto Tumori della Romagna - IRST IRCCS. «Il farmaco - prosegue Martinelli - è stato pertanto nettamente superiore a qualsiasi trattamento di salvataggio nella leucemia mieloblastica acuta FLT3 positiva, sia rispetto alla chemioterapia sia con farmaci demetilanti. Quindi si propone come un'importante prima linea nella malattia ricaduta refrattaria e conseguentemente anche come farmaco da utilizzare presto con nuove combinazioni e in particolare con il venetoclax, in quanto i primi dati americani stanno dimostrando che l'efficacia sia ancora superiore a quella che è stata dimostrata in monoterapia».

### Approvazione basata sui dati dello studio ADMIRAL

L'approvazione si è basata sui dati di ADMIRAL, uno studio randomizzato di fase 3 nel quale 138 pazienti adulti con leucemia mieloide acuta recidivante/refrattaria FLT3+ sono stati trattati con gilteritinib per via orale alla dose di 120 mg al giorno. In questo gruppo, dopo un follow-up mediano di 4,6 mesi, il 21% dei pazienti ha ottenuto una

remissione completa o una remissione completa con recupero ematologico parziale.

Inoltre, dei 106 pazienti che necessitavano di trasfusioni di globuli rossi o piastrine al basale, il 31% non ha più avuto bisogno di trasfusioni per almeno 56 giorni. Analogamente, il 53,1% dei restanti 32 pazienti che al basale non necessitavano di trasfusioni di globuli rossi o piastrine ha mantenuto l'indipendenza dalle trasfusioni per almeno 56 giorni dopo il basale.

Lo studio ADMIRAL è ancora in corso, e i dati completi relativi ai tassi di risposta e alla sopravvivenza globale dovrebbero essere resi pubblici il prossimo anno.

### Effetti collaterali più lievi della chemioterapia tradizionale

«Anche se stiamo aspettando l'analisi finale di ADMIRAL, i dati disponibili su gilteritinib mostrano effetti collaterali meno frequenti e più lievi di quelli tipici della chemioterapia tradizionale» ha dichiarato nel comunicato stampa per l'approvazione Fda Alexander Perl, professore associato di ematologia e oncologia presso la Perelman School of Medicine dell'Università della Pennsylvania e l'Abramson Cancer Center di Philadelphia.

«Spesso, si utilizza una terapia di salvataggio per stabilizzare la leucemia aggressiva prima che un paziente venga sottoposto a un trapianto di midollo osseo che speriamo possa essere curativo. Avere un farmaco a bassa tossicità, ma altamente attivo, come gilteritinib significa che i pazienti recidivati o refrattari non solo hanno maggiori probabilità di poter fare il trapianto, ma sono anche più forti al momento del trapianto stesso e maggiormente in grado di sopportare l'intervento chirurgico e il recupero» aggiunge lo specialista che sottolinea anche che gilteritinib è somministrato in regime ambulatoriale, il che facilita l'assunzione del trattamento da parte dei pazienti.



Dr. Giovanni Martinelli

Tratto da [pharmastar.it](http://pharmastar.it)

## Il prelievo di sangue può essere utilizzato per valutare la malattia residua nei pazienti con Leucemia Acuta Mieloide

*Nei pazienti con LAM la malattia residua è misurabile in citofluorimetria su un campione di sangue periferico e ha rilevanza prognostica*

**L'**utilizzo del campione di sangue periferico può essere un utile sostituto nella rilevazione della malattia residua nei pazienti affetti da Leucemia Acuta Mieloide (LAM). Questo il risultato del lavoro presentato dal dott. Luca Maurillo, ematologo presso l'Unità Operativa Complessa di Ematologia del Policlinico Tor Vergata a Roma, nel corso dell'ultimo convegno della Società Italiana di Ematologia

Dal punto di vista pratico questo risultato sembra avere diverse implicazioni.

«Infatti, lo studio ha una **duplice finalità** – commenta Maurillo. – Da una parte utilizzando una soglia definita, pari allo 0,1%, possiamo dire che in tutti coloro in cui si supera questo valore nel sangue periferico riscontriamo la presenza di malattia anche nel midollo osseo, dall'altra la combinazione delle due rilevazioni diagnostiche riflette importanti implicazioni anche dal punto di vista della stratificazione dei pazienti. Riusciamo infatti ad identificare un sottogruppo di pazienti a prognosi migliore».

Nell'ambito di una malattia così eterogenea come la LMA è molto importante identificare la categoria di rischio del paziente in modo da modulare al meglio la terapia e intensificarla qualora fosse necessario. Ed è anche questo un aspetto su cui questo lavoro va ad incidere.

**«Un vantaggio evidente di questa metodologia nella sua minima invasività, il che consente di effettuare numerose analisi e quindi di seguire l'andamento della malattia con molta più attenzione.**

Negli anziani questo è molto importante, potendo evitare di sottoporli ad un prelievo di midollo, intervento che ha un certo grado di invasività. Ma anche per i giovani i vantaggi sono evidenti, è infatti possibile pensare di eseguire dei semplici prelievi del sangue ogni due settimane, ad esempio, ottenendo così un stretto controllo della malattia a fronte di un impegno minimo».

Anche la gestione del campione e dell'analisi è più semplice. È infatti possibile effettuare questa analisi presso i laboratori che normalmente si occupano di malattia residua ma c'è anche il vantaggio dato dal campione di sangue periferico che, rispetto al campione di midollo, è più facilmente analizzabile e i cui dati sono più riproducibili.

«Mentre nel midollo osseo troviamo varie sotto-

popolazioni midollari di cellule maturanti che possono interferire nell'analisi – ci dice Maurillo – nel sangue periferico queste popolazioni non sono presenti e quindi i blasti, le cellule patologiche, sono più facilmente identificabili».

Un problema però rimane, perché nel sangue c'è meno malattia rispetto al midollo e quindi ti devi muovere su valori differenti; da qui la creazione di una soglia di riferimento.

La definizione del valore soglia, qui fissato allo 0,1% di blasti, è importante perché al di sotto di questo valore il dato non è significativo e bisogna necessariamente effettuare un prelievo di midollo per confermare l'eventuale assenza di malattia. In termini pratici questo significa che «se noi troviamo un valore dello 0,5% nel sangue periferico, sappiamo con certezza che la malattia è presente nel midollo del paziente e che il trattamento dovrà essere intensificato».

Questo studio ha però un'altra implicazione importante: il suo significato prognostico. Nella categoria di pazienti classificati come basso rischio, sulla base di questa doppia analisi, è possibile stratificare ulteriormente la prognosi.

«A parità di terapia erogata c'è un sottogruppo che risponde molto meglio alla terapia. Coloro che hanno sia il midollo che il periferico negativo vanno molto meglio di coloro che hanno midollo negativo ma periferico positivo». In termini pratici questo significa che il 75% di questi pazienti sono liberi da malattia a distanza di due anni.

I dati qui raccolti sono di natura prospettica e retrospettiva. I dati del passato, retrospettivi, derivano dai vecchi protocolli GIMEMA, mentre i dati prospettivi, raccolti in tempo reale, derivano dallo studio **GIMEMA AML 1310** (di cui parleremo in un futuro articolo). Un aspetto molto importante dello studio è, oltre al numero dei pazienti coinvolti, questi hanno ricevuto un trattamento omogeneo, con lo stesso tipo di approccio.

**«Nel futuro puntiamo a far entrare questo tipo di analisi nella normale pratica clinica**

- ci dice ancora Maurillo - in modo che si possano evitare, per quanto possibile, i prelievi di midollo osseo in occasione dei controlli e si migliori l'identificazione di questo nuovo sottogruppo di pazienti a prognosi migliore».

Tratto da gimma.it

News News News News News News News News News



**800 59 11 47**

dal lunedì al venerdì  
orario d'ufficio

**ONLUS**



## **DIREZIONE**

Via G. Murat 85 - 20159 Milano  
Tel: 02 69008117 - Fax 02 69016332

**Sito Internet: [www.emo-casa.com](http://www.emo-casa.com)  
[info@emo-casa.com](mailto:info@emo-casa.com)**

### **Come aiutarci:**

- a mezzo versamento c/c postale 40444200 intestato a: **Progetto Emo-Casa Onlus**
- con bonifico bancario Monte dei Paschi di Siena Ag. 51 - Milano  
cod. IBAN IT22 N 01030 01658 000061127249
- con bonifico bancario Banca Popolare di Sondrio Ag. 15 - Milano  
cod. IBAN IT23 R056 9601 6140 0000 3788 X80
- devolvendo il 5 per mille alla nostra Associazione c.f. 97205190156 usando:  
mod. integrativo CUD; mod. 730/1-bis redditi; mod. unico persone fisiche

#### **16124 Genova P.tta Jacopo da Varagine 1/28**

**Tel. 010 2541440**

**Fax 010 2473561**

E-mail: [progettoemocasaonlus.ge@gmail.com](mailto:progettoemocasaonlus.ge@gmail.com)

#### **35138 Padova Via Bezzecca, 4/c**

**Tel. 049 8713791**

**Fax 049 8714346**

Banca Intesa Sanpaolo

Filiale Via Montà 109 - Padova

IBAN IT66 W030 6912 1331 0000 0101 464

E-mail: [emocasa.pd@gmail.com](mailto:emocasa.pd@gmail.com)

Delegazione Padova - Treviso - Venezia - Vicenza

#### **38122 Trento Via Zara, 4**

**Tel. e Fax 0461 235948**

Cassa Rurale di Trento

Filiale di Trento - Via Grazioli

IBAN IT03 H083 0401 8330 0000 9791 479

E-mail: [progetto.emo.casa.onlus.tn@gmail.com](mailto:progetto.emo.casa.onlus.tn@gmail.com)

Delegazione Trento - Belluno

#### **28100 Novara Via Gnifetti, 16**

**Tel. e Fax 0321 640171**

E-mail: [emocasa.novara@gmail.com](mailto:emocasa.novara@gmail.com)

#### **37135 Verona Via Rovigo, 23**

**Tel. 045 8205524**

**Fax 045 8207535**

Banca Intesa Sanpaolo

Filiale Viale del Lavoro 8 - Verona

IBAN IT32 K030 6918 4681 0000 0004 555

E-mail: [progetto.emocasa.vr@gmail.com](mailto:progetto.emocasa.vr@gmail.com)

Delegazione Verona - Brescia - Mantova

#### **48121 Ravenna Via Pellegrino Matteucci, 20**

**Tel. e Fax 0544 217106**

E-mail: [emo.ra@libero.it](mailto:emo.ra@libero.it)

#### **Unità mobile**

Sede Ponente Ligure:

P.zza della Libertà 10/1 - 17055 Toirano (SV)

**Tel. 347 5745626**

**Emoflash**

MENSILE ORGANO UFFICIALE DELL'ASSOCIAZIONE "Progetto Emo-casa Onlus"

Direzione, Redazione, Amministrazione, Via G. Murat 85 - 20159 Milano • tel: 02 69008117 - fax 02 69016332

Direttore Responsabile: Tesolin Flavio

Comitato di Redazione: Nosari Anna Maria Rita, Crugnola Monica, Zaffaroni Livio, Maggis Francesco, De Miccoli Rita, Andreescu Luminita Mihaela

Iscrizione Tribunale di Milano N. 174 del 16/03/1998 - Fotocomposizione: LimprontaGrafica Milano - Stampa: Grafica Briantea srl - Usmate (MI)