

Cura della leucemia: la promettente pillola sperimentale

*Una nuova speranza per i malati terminali di leucemia.
Revumenib ha eliminato il cancro nel 30 per cento dei pazienti che hanno partecipato
a una sperimentazione clinica negli Stati Uniti*

I pazienti con leucemia terminale che non rispondevano al trattamento ora hanno la speranza di una cura, grazie a una nuova pillola sperimentale, ma molto promettente, chiamata Revumenib.

Questo farmaco ha eliminato completamente il cancro in un terzo dei partecipanti a una sperimentazione clinica negli Stati Uniti.

Sebbene non tutti i pazienti abbiano mostrato una remissione completa, gli scienziati sono fiduciosi poiché i risultati indicano che la pillola potrebbe aprire la strada a una cura futura per la leucemia.

«Siamo incredibilmente fiduciosi dei risultati ottenuti nei pazienti che hanno ricevuto questo farmaco. Questa era la loro ultima possibilità», ha affermato il coautore dello studio, il dottor Ghayas Issa, un medico specializzato in leucemie presso il MD Anderson Cancer Center dell'Università del Texas.

«Sono progrediti su più linee di terapia e una porzione di loro, circa la metà, ha ottenuto la scomparsa delle cellule leucemiche dal midollo osseo», ha detto a Euronews Next.

Come funziona questa pillola?

La leucemia mieloide acuta (AML) è un tipo di cancro che attacca il midollo osseo, e si diffonde molto rapidamente.

Nella terapia mirata per la leucemia acuta, Revumenib inibisce una proteina specifica chiamata menina, la quale fa sì che le normali cellule del sangue si trasformino in cancerose. Il farmaco agisce riprogrammando le cellule leucemiche in cellule normali.

Usando Revumenib, ha spiegato Issa, le cellule leucemiche vengono trasformate in cellule normali, con conseguente remissione.

La pillola ha già salvato 18 vite nell'ambito della sperimentazione clinica, i cui promettenti risultati sono stati pubblicati questo mese sulla rivista Nature.

I risultati preliminari hanno mostrato che il 53% dei pazienti ha risposto a Revumenib e il 30% ha avuto una remissione completa senza alcun tumore rilevabile nel sangue.

Sulla base dei dati dello studio, nel dicembre 2022 la Food and Drug Administration degli Stati Uniti ha concesso a Revumenib la designazione di "terapia rivoluzionaria" per accelerare il suo sviluppo e la revisione normativa.

Una cura per la leucemia, ma non per tutti

«Rappresenta sicuramente un passo avanti ed è il risultato di anni di scienza. Molti gruppi hanno lavorato duramente in laboratorio per capire cosa sta causando queste leucemie», ha detto Issa.

Tuttavia, ha spiegato che il farmaco non funziona per tutti i pazienti. È per un sottoinsieme specifico di leucemie che generalmente hanno geni mancanti o etichettati in modo errato o una fusione cromosomica.

La pillola sperimentale prende di mira la mutazione più comune nella leucemia mieloide acuta, un gene chiamato NPM1 e una fusione meno comune chiamata KMT2A. Insieme, si stima che queste mutazioni si verifichino in circa il 30-40 per cento delle persone con leucemia mieloide acuta.

Un forte impatto per effetti collaterali limitati

Secondo Issa, sebbene questo farmaco sia abbastanza sicuro rispetto ai trattamenti standard per la leucemia, sono stati identificati due principali effetti collaterali.

Il primo colpisce il sistema elettrico del cuore e può essere rilevato con un elettrocardiogramma (Ecg). Tuttavia, la riduzione del dosaggio o l'interruzione del trattamento ha risolto il problema in tutti i casi, ha spiegato.

Il secondo effetto collaterale è indicato come sindrome da differenziazione - un gruppo di reazioni ai trattamenti per il cancro del sangue potenzialmente pericolose per la vita - ma può essere gestito in modo efficace se viene riconosciuto precocemente e vengono prese misure appropriate. Secondo Issa, tutti i casi di sindrome da dif-

ferenziazione in questo studio sono stati gestiti con successo senza complicazioni per i pazienti.

Lo studio è ancora nelle sue fasi iniziali e i risultati rimangono preliminari. Studi di fase I come questo mirano a verificare se un farmaco è sicuro e a trovare la dose più alta che può essere somministrata senza causare gravi effetti collaterali.

È attualmente in corso uno studio di fase II che esamina specificamente l'efficacia di Revumenib.

Sebbene la pillola sperimentale non sia la cura definitiva, i ricercatori che hanno lavorato alla sperimentazione sono ottimisti.

«In futuro, abbiamo in programma di combinare questa pillola con i trattamenti standard attualmente impiegati per le leucemie acute», ha affermato Issa.

Tratto da euronews.com

Linfoma: nuovo auto-trapianto con le cellule staminali

Un trattamento per il linfoma è il trapianto autologo di cellule staminali dove la chemioterapia è seguita da una rinfusione delle sue cellule staminali

Secundo il Ministero della Salute al decreto ministeriale del 18 novembre 2009 (aggiornato nel 2014) "Disposizioni in materia di conservazione di cellule staminali da sangue del cordone ombelicale per uso autologo - dedicato. (09A15290) (GU Serie Generale n.303 del 31-12-2009)" per oltre 70 patologie è consolidato l'uso per il trapianto di cellule staminali ematopoietiche, con comprovata documentazione di efficacia e per le quali è opportuna la raccolta dedicata di sangue cordonale tra questi il linfoma non-Hodgkin.

Questo linfoma rappresenta un gruppo eterogeneo di tumori che colpiscono in genere la popolazione adulta e anziana e in Italia rappresentano circa il 3% di tutte le neoplasie. L'incidenza è in aumento e le stime dei Registri Tumori AIRTUM aggiornato al 2020 parlano di 7.000 nuovi casi tra gli uomini e di 6.100 tra le donne.

Il linfoma non-Hodgkin

Sono neoplasie che colpiscono le cellule del si-

stema immunitario, i linfociti, che difendono il nostro organismo dagli agenti esterni, la malattia si verifica quando la struttura cellulare del corpo muta. Nel tempo, questo può portare a cellule sovradimensionate che sbilanciano il sistema corporeo o a tumori che si sviluppano da cellule in eccesso.

L'opzione terapeutica con maggior successo è rappresentata dal trapianto autologo dedicato di cellule staminali da midollo osseo, sangue periferico o meglio ancora da cordone ombelicale.

Il trattamento con le cellule staminali

Le cellule staminali ematopoietiche da cordone ombelicale rappresentano circa il 4% delle cellule presenti nel sangue cordonale e costituiscono la principale fonte di cellule staminali immature e con una notevole capacità di differenziarsi in una qualsiasi cellula del sangue e riprodursi per poter ripristinare il sistema immunitario, con un basso o quasi nullo rischio di rigetto e recidiva Cytotechnology (2015) 67:387-

396. Le cellule staminali ematopoietiche si trovano nel midollo osseo e nel sangue periferico costituendone lo 0,01-1%, delle cellule presenti, e non esiste un buon modo per separarle dalle altre cellule (Cytotechnology - 2015).

I benefici del trapianto

Quando vengono eseguite infusioni di midollo osseo e globuli periferici si ottengono un numero esiguo di cellule staminali che sono terapeutiche insieme a molte altre cellule che, invece, non lo sono. Il trapianto autologo di cellule staminali consiste nella somministrazione di chemioterapia associata o meno a radioterapia seguita da una rinfusione delle cellule staminali del paziente stesso.

La vera sfida dei ricercatori riguarda l'aumento dei campioni a disposizione che secondo i dati del centro nazionale del sangue sono bassi, nell'ultimo anno solo il 2,5% delle coppie

ha deciso di donare le cellule staminali del cordone ombelicale.

Le proiezioni future di questo trattamento

«L'unico modo per aumentare i campioni a disposizione della comunità è unire le forze attraverso un modello ibrido, dove il pubblico e privato collaborano per la tutela del patrimonio biologico delle famiglie. - spiega Luana Piroli direttore generale e della raccolta di In Scientia Fides.- Questo modello di raccolta è già attivo da tempo in paesi come Inghilterra e Germania con un obiettivo comune, la salvaguardia del cittadino con la messa in sicurezza di un patrimonio biologico e soprattutto una regolamentazione del settore. Riteniamo sia dunque indispensabile un confronto a livello governativo».

Tratto da meteoweb.eu

Leucemia Mieloide Acuta e Colangiocarcinoma IDH1 mutati: ok dalla Commissione europea a ivosidenib

La Commissione Europea ha approvato ivosidenib in compresse come terapia mirata in due indicazioni:

- In associazione con azacitidina per il trattamento di pazienti adulti con Leucemia Mieloide Acuta di nuova diagnosi con una mutazione dell'isocitrato deidrogenasi-1 (IDH1) che non sono idonei a ricevere la chemioterapia di induzione standard;
- in monoterapia per il trattamento di pazienti adulti con Colangiocarcinoma localmente avanzato o metastatico con una mutazione (IDH1) che sono stati precedentemente trattati con almeno una linea di terapia sistemica.

Ivosidenib è il primo e unico inibitore di IDH1 approvato in Europa. Ha ricevuto la designazione di farmaco orfano per il significativo beneficio apportato ai pazienti rispetto alle terapie disponibili sia per il Colangiocarcinoma che per la Leucemia Mieloide Acuta.

«La prognosi per i pazienti con diagnosi di leucemia mieloide acuta o colangiocarcinoma è sempre stata infausta, con opzioni terapeutiche molto limitate. Con l'approvazione odierna da

parte della Commissione Europea, ivosidenib è ora il primo inibitore mirato di IDH1 approvato in Europa. Questo conferma sempre di più la nostra leadership scientifica nel setting delle mutazioni IDH1 e il nostro impegno nella ricerca di nuove soluzioni terapeutiche per i pazienti affetti da tumori difficili da trattare», osserva Arnaud Lallouette, Executive Vice President, Global Medical & Patient Affairs di Servier.

«Le mutazioni di IDH1 sono i principali fattori di progressione di malattia nella leucemia mieloide acuta e nel colangiocarcinoma, patologie che spesso vengono diagnosticate in fase avanzata e quindi bisognose di un'opzione terapeutica mirata.

Lo sviluppo di nuove terapie come ivosidenib, con un meccanismo d'azione diverso dai chemioterapici tradizionali, offre ai pazienti nuove opzioni terapeutiche in grado di aumentare l'aspettativa e la qualità di vita», aggiunge Philippe Gonnard, Executive Vice President, Global Product Strategy di Servier.

Tratto da quotidianosanita.it



800 59 11 47

dal lunedì al venerdì
orario d'ufficio

DIREZIONE

Via G. Murat 85 - 20159 Milano
Tel: 02 69008117 - Fax 02 69016332
Sito Internet: www.emo-casa.com
info@emo-casa.com



ETS

Come aiutarci:

- a mezzo versamento c/c postale 40444200 intestato a: **Progetto Emo-Casa ETS**
- 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: progettoemocasonlus.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

Delegazione Padova - Rovigo - 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

Delegazione Trento - Belluno - Bolzano

28100 Novara Via Gnifetti, 16

Tel. e Fax 0321 640171

E-mail: emocasa.novara@gmail.com

Delegazione Novara - Asti - Biella - Verbania
Vercelli

37134 Verona Via Rovigo, 23

Tel. 045 8205524

Fax 045 582608

Banca Intesa Sanpaolo

Filiale Viale del Lavoro 8 - Verona

IBAN IT32 K030 6918 4681 0000 0004 555

E-mail: 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

Delegazione di Ravenna - Forlì/Cesena - Rimini

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 ETS"

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)