

*Istituto Giannina Gaslini*



Genova, 5 gennaio 2022 - La prestigiosa rivista scientifica internazionale *New England Journal of Medicine* pubblica

i risultati dello studio di fase III RACE, sponsorizzato dall'EBMT, la Società Europea di Trapianto di Midollo Osseo e Terapie Cellulari, che dimostra come nella cura dell'anemia aplastica grave l'aggiunta del farmaco Eltrombopag al trattamento immunosoppressivo standard è sicura, aumenta i tassi e migliora la qualità della risposta nei pazienti con questa rara, potenzialmente letale, malattia.

Si tratta di un'importante ricerca in cui l'Istituto pediatrico genovese Giannina Gaslini ha avuto un ruolo di primo piano. Infatti, uno dei coordinatori e degli autori principali è Carlo Dufour, che al Gaslini dirige il Polo Emato-Onco-Trapiantologico e l'Unità di Ematologia.

Lo studio è stato ideato e condotto insieme ai due *principal investigators*: Antonio M. Risitano, Direttore dell'Unità

di Ematologia e Trapianto Emopoietico presso l'AORN Moscati di Avellino e professore di Ematologia presso l'Università Federico II di Napoli, e Régis Peffault de Latour, professore e Direttore del Centro di riferimento francese

per l'anemia aplastica e la EPN presso l'ospedale Saint-Louis di Parigi.



*Prof. Carlo Dufour*

“Con questo risultato il Gaslini con il Polo Emato-Onco-Trapiantologico si conferma leader nazionale ed internazionale nella ricerca e nell’attività clinica sulle malattie del sangue e sui tumori dell’età pediatrica. Ricordiamo che ogni anno vengono accolti oltre 400 nuovi pazienti con malattie emato-oncologiche, la maggioranza dei quali proviene da altre Regioni o dall’estero, attratti dalla qualità delle cure del nosocomio genovese, che permettono percentuali di successo del 90 % e più, nelle leucemie e nei linfomi, e tassi di cura sempre migliori nei tumori solidi e nei moderni trapianti da donatore parzialmente compatibile” commenta il Presidente e Assessore alla Sanità di Regione Liguria Giovanni Toti.

Lo studio RACE riguarda una rara malattia del sangue (2/3 nuovi malati all’anno su milione di abitante nel mondo occidentale), l’anemia aplastica grave, per effetto della quale il midollo osseo, la sede di produzione delle cellule del sangue, si svuota e quindi non produce più i globuli bianchi, i globuli rossi e le piastrine.

Negli ultimi 50 anni l'EBMT ha contribuito notevolmente a identificare trattamenti efficaci per questa patologia, che negli anni '70 era quasi sempre letale. Tuttora resta una malattia serissima che nelle fasce di età più giovani può essere curata con il trapianto di midollo osseo. Per i pazienti per cui non si trova un donatore adeguato di

midollo osseo, o che non sono in grado di sopportare il trapianto, era disponibile un'altra terapia definita "Immunosoppressione combinata" che consiste nell'impiego di due farmaci, il siero antilinfocitario e la ciclosporina A.

"L'aggiunta a questa combinazione di un terzo farmaco, l'Eltrombopag, una nuova molecola che si prende per bocca, ha migliorato significativamente la sopravvivenza libera da eventi, dato molto importante, indica che il paziente ha risposto al trattamento a 6 mesi, non ha avuto recidive e non ha richiesto ulteriori trattamenti per l'anemia aplastica compreso il trapianto di cellule staminali ematopoietiche. Lo studio ha anche dimostrato che l'aggiunta di Eltrombopag migliora molto la velocità della risposta rispetto alla combinazione di solo siero antilinfocitario e ciclosporina A. Questa metodologia di sperimentazione clinica rappresenta il livello più alto raggiungibile dalle evidenze scientifiche e dà grande forza al risultato della ricerca" spiega Carlo Dufour direttore Polo Emato-Onco- Trapiantologico e l'Unita di Ematologia dell'Istituto Gaslini di Genova.

Infatti RACE, è stato uno studio di fase III, controllato, randomizzato, sponsorizzato dall'EBMT, che ha valutato 197 pazienti nel corso di 8 anni e ha coinvolto 26 centri specialistici di 6 nazioni europee giungendo al termine nonostante le difficoltà legate alla pandemia. Lo studio ha ricevuto un finanziamento non condizionato di Novartis, Pfizer e Alexion, ed è stato promosso da ricercatori indipendenti (studio accademico, non promosso da Aziende farmaceutiche).

"Questi dati posizionano questa 'terapia triplice' come il nuovo standard di cura per i pazienti con SAA non eleggibili al trapianto, ampliando in modo rilevante il novero delle possibilità terapeutiche per i soggetti affetti da aplasia acquisita non solo nell'adolescenza ma anche e soprattutto nell'età avanzata - conclude Carlo Dufour - Inoltre, sono molto orgoglioso di aver dimostrato che è possibile condurre studi randomizzati di grandi dimensioni, accademici, avviati da sperimentatori in malattie rare in collaborazione con molti centri esperti in Europa con un beneficio diretto per i nostri pazienti".

La pubblicazione del *New England*

*Journal of Medicine* oltre che dare grande risalto internazionale alla ricerca svolta potrebbe infatti accelerare la registrazione del farmaco

Eltrombopag come terapia di prima linea dell'aplasia che quindi un domani potrebbe essere offerto ai pazienti con costi coperti dal servizio sanitario nazionale.