



*Istituto Nazionale Tumori Regina Elena (IRE) - IFO e Polo Oncologico della Sapienza (POS): nuova convenzione potenzia le attività grazie alla condivisione di esperienze e piattaforme. Il Direttore generale Ripa di Meana e il Rettore Gaudio: “Una sinergia strategica per garantire l’accesso a cure innovative a un maggior numero di pazienti e per raccogliere dati di grande rilevanza per la ricerca”*



Roma 5 settembre 2019 - Siamo in una fase storica dell’oncologia: sta emergendo il “modello mutazionale” che consente di trattare i pazienti con farmaci capaci di intervenire sulla alterazione di specifici geni presenti nelle cellule tumorali. Finora è stato il modello istologico a orientare i trattamenti, ma le nuove terapie, per lo più farmaci a bersaglio molecolare, si rivelano sempre più efficaci.

Strumenti e metodi innovativi (sequenziamento del genoma, approcci bioinformatici, intelligenza artificiale, biobanche, ecc.) consentono di studiare migliaia di alterazioni dei geni presenti in un tumore o in un singolo paziente e di ottenere la profilazione genomica tramite biopsia solida e liquida, nonché di verificare l’efficacia di alcuni farmaci anche al di fuori delle indicazioni terapeutiche standard.

L’FDA, l’ente regolatorio statunitense, ha infatti autorizzato di recente 3 nuovi farmaci (Pembrolizumab, Larotrectinib e Entrectinib) per il trattamento dei tumori in pazienti affetti da una neoplasia caratterizzata da specifiche mutazioni, indipendentemente dall’età, dal sesso e dalla localizzazione del tumore.



Francesco Ripa di Meana ed Eugenio Gaudio

I Molecular Tumor Board (MTB), gruppi interdisciplinari che integrano le competenze oncologiche, ematologiche, della biologia molecolare, delle anatomie patologiche e delle farmacie ospedaliere, sono stati istituiti un anno fa presso l'Istituto Nazionale Tumori Regina Elena (IRE) - IFO e il Polo Oncologico della Sapienza (POS), per fornire a medici e pazienti gli strumenti per gestire situazioni complesse e particolari attraverso un accesso omogeneo, equo, governato e sostenibile, alle nuove modalità terapeutiche in oncologia.

“In tale contesto, - annunciano con entusiasmo Eugenio Gaudio, Rettore della Sapienza e Francesco Ripa di Meana, Direttore generale IFO - riteniamo strategica l'intesa siglata tra IFO e Sapienza, finalizzata a garantire al maggior numero di pazienti la profilazione genomica, possibile con il supporto dell'alta tecnologia e di nuove terapie personalizzate sulle specifiche mutazioni. Grazie all'esperienza del MTB IRE-IFO, all'ampio bacino di utenza del Polo Oncologico Sapienza (POS) e alla piattaforma informatica di gestione dati messa a disposizione dalla Sapienza, nasce nella Regione Lazio un modello esemplare”.

Il Regina Elena dal 2017 effettua di routine, a circa 1.000 pazienti/anno, la profilazione molecolare NGS (Next Generation Sequencing) al fine di identificare mutazioni geniche predittive delle risposte terapeutiche. Con l'istituzione del Molecular Tumor Board (MTB) l'IRE-IFO ha ottenuto risultati interessanti: negli ultimi 12 mesi ha studiato casi clinici molto complessi di pazienti in cura presso l'IFO o inviati da altre istituzioni sanitarie e ha offerto una opportunità terapeutica innovativa e aggiuntiva a pazienti che erano ancora in buone condizioni generali, nonostante la malattia neoplastica fosse in stato avanzato.

Dall'analisi di almeno 40 casi clinici, si è riusciti a proporre una terapia non convenzionale (off label) in 11 casi. La risposta clinica nella maggioranza dei pazienti trattati è stata entusiasmante, in alcuni si è registrata la remissione completa. Sono stati trattati e osservati soggetti che non avevano altra opzione terapeutica praticabile e avrebbero avuto una evoluzione rapida e fatale, ma, come in un caso di carcinoma del polmone a stadio avanzato, si è osservato quello che in letteratura si chiama Lazarus' resurrection. Il successo del MTB IRE-IFO testimonia che la strada è giusta, va perseguita, e se possibile

ampliata.

L'esperienza del Polo Oncologico della Sapienza (Policlinico Umberto I e Ospedale Sant'Andrea) basata su piattaforme Foundation One e Nanostring ha consentito, dal dicembre 2018 a oggi, la valutazione della espressione genica su un totale di 89 pazienti con caratteristiche cliniche analoghe a quelle utilizzate nello studio dell'IFO-IRCCS.

I report mutazionali dei 75 campioni valutati sono stati decisivi per l'individuazione di target molecolari e la scelta del trattamento mirato in oltre il 40% dei casi (67 relativi a pazienti affetti da neoplasia del polmone in fase metastatica, 1 relativo a melanoma metastatico, 1 relativo a carcinoma squamocellulare dell'ano metastatico e 6 relativi a neoplasia del colon).

Inoltre, dalla collaborazione tra Sapienza Università di Roma, Fondazione Ricerca e Salute (ReS) e Cineca, parte la realizzazione, configurazione e gestione di un sistema informatico (piattaforma mutazionale) per assicurare la discussione collegiale dei casi clinici di particolare complessità, sulla base della profilazione genomica, costituendo un supporto digitale e un database di fondamentale rilevanza per il confronto tra esperti. La piattaforma agevolerà l'analisi epidemiologica, la classificazione delle mutazioni e le attività della ricerca oncologica.

L'utilizzazione di queste informazioni consentirà di mettere a disposizione della ricerca e delle autorità regolatorie informazioni di straordinaria importanza, raccolte in modo omogeneo e prospettico nella vita reale e non solo nell'ambito di studi clinici.

“Il nostro impegno - sottolineano Gennaro Ciliberto, Direttore Scientifico IRE e Paolo Marchetti, coordinatore del POS - è ora volto con determinazione a consolidare l'esperienza comune, che ha già dato risultati così importanti, ma anche ad ampliarla e condividerla per tracciare a beneficio di tutti i pazienti del Lazio un nuovo percorso nelle terapie oncologiche”.

“Solo le sinergie di scala - concludono il Rettore Gaudio e il Direttore generale Ripa di Meana - e l'impegno assiduo e congiunto di pazienti che acconsentono a questa nuova forma di sperimentazione clinica, di oncologi, medici e di ricercatori clinici, potrà contribuire a partire da Roma alla diffusione di un network di MTB sul territorio nazionale. La condivisione attiva di strumenti, risorse, metodologie e la possibilità di consultazioni anche online, ci permetterà di compiere passi avanti rapidi e significativi per assicurare in concreto a ogni paziente il giusto farmaco e la cura personalizzata in base al proprio profilo molecolare”.