

È stata progettata all'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù la prima terapia genica con cellule CAR T in grado di curare – con buona probabilità di successo – le forme più gravi di neuroblastoma, il tumore solido più frequente dell'età pediatrica. Il nuovo trattamento, messo a punto dal team di clinici e ricercatori guidato dal prof. Franco Locatelli, è stato sperimentato su 27 bambini con neuroblastoma recidivato e/o resistente alle terapie convenzionali. La risposta al trattamento ha superato il 60% e la probabilità di sopravvivere senza malattia è significativamente aumentata rispetto all'attesa di vita, purtroppo breve, in assenza di altre cure.

I risultati dello studio, realizzato anche grazie ai finanziamenti ricevuti da AIRC, Ministero della Salute, AIFA e Fondazione Italiana per la Lotta al Neuroblastoma, sono stati pubblicati sulla prestigiosa rivista di medicina New England Journal of Medicine.

IL NEUROBLASTOMA

Il neuroblastoma è il tumore solido extracranico più frequente dell'età pediatrica e rappresenta circa il 7- 10% dei tumori nei bambini tra 0 e 5 anni. In Italia vengono formulate circa 120-130 nuove diagnosi all'anno.

Questo tumore ha origine dai neuroblasti, cellule presenti nel sistema nervoso simpatico, e può insorgere in diversi distretti corporei tra cui il più frequente è il surrene. Ancora oggi, il neuroblastoma ha una prognosi significativamente meno buona di altre neoplasie dell'età pediatrica, essendo responsabile dell'11% delle morti per cancro in età pediatrica: nelle forme metastatiche o ad alto rischio di ricaduta la probabilità di guarigione definitiva è del 45-50%; in caso di ricaduta o di malattia refrattaria alle cure convenzionali (chemio e radioterapia), la possibilità di sopravvivere a 2 anni non supera il 5-10%.

LO STUDIO DEL BAMBINO GESÙ'

La sperimentazione della terapia genica con cellule CAR T dirette contro il neuroblastoma è stata interamente progettata e condotta da medici e ricercatori dell'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù coordinati dal prof. Franco Locatelli. Lo studio ha coinvolto l'Officina Farmaceutica, le aree di Oncoematologia, Terapia Cellulare, Terapie Geniche e Trapianto Emopoietico e Diagnostica di Immagini.

Tra il 2018 e il 2021 sono stati arruolati nel trial 27 pazienti provenienti da tutta Italia, di età compresa tra 1 e 25 anni, affetti da neuroblastoma recidivato e/o resistente e già sottoposti a numerosi tentativi di cura, con l'obiettivo di «verificare se la terapia con le cellule CAR T fosse in grado di cambiare la storia naturale della loro malattia» spiega il prof. Franco Locatelli, responsabile dell'area di ricerca e area clinica di Oncoematologia, Terapia Cellulare, Terapie Geniche e Trapianto Emopoietico del Bambino Gesù, nonché Professore Ordinario di Pediatria presso l'Università Cattolica del Sacro Cuore.

I pazienti coinvolti nello studio sono stati trattati con l'infusione di cellule CAR T modificate con un costrutto di terza generazione, denominato GD2-CART01, prodotto in laboratorio dai ricercatori dell'Ospedale della Santa Sede partendo dal prelievo di linfociti T autologhi (cioè provenienti dal paziente stesso).

I RISULTATI: EFFICACIA OLTRE IL 60%. La nuova terapia CAR T per il neuroblastoma recidivo e/o refrattario si è dimostrata sicura ed efficace: al termine dello studio il team di ricercatori del Bambino Gesù ha osservato una risposta al trattamento nel 63% dei pazienti, metà dei quali in remissione completa di malattia. Cresce la probabilità di sopravvivenza fino a 3 anni (60% dei casi) e di



