

---

## **Tumori cerebrali: Osp. Bambino Gesù, terapia sperimentale aumenta aspettativa di vita in piccoli pazienti affetti da glioma inoperabile**

Una terapia sperimentale accresce l'aspettativa di vita dei bambini affetti da un tumore cerebrale molto aggressivo e inoperabile: il glioma diffuso della linea mediana. La sopravvivenza media di questi piccoli pazienti passa da meno di 12 mesi dalla diagnosi a circa 24. Il risultato arriva da uno studio clinico dell'Ospedale pediatrico Bambino Gesù, tra i primi Centri a livello internazionale ad aver sperimentato una cura basata sulla caratterizzazione genetica molecolare del tumore di ciascun paziente coinvolto nella ricerca e sull'uso di farmaci "target", cioè mirati. Lo studio è stato pubblicato sulla rivista scientifica *Therapeutic Advances in Medical Oncology*. I gliomi diffusi della linea mediana sono tumori tipici dell'età pediatrica caratterizzati, per oltre il 90%, da mutazioni della proteina H3K27M. Si sviluppano nelle strutture mediane del cervello, tra le quali il ponte, la parte del tronco encefalico che regola funzioni vitali come il respiro e l'attività cardiaca, sono molto aggressivi, tendono a diffondersi rapidamente e a infiltrarsi in profondità. A causa della loro sede, non possono essere asportati chirurgicamente. In Italia vengono diagnosticati circa 20-25 casi pediatrici all'anno con un picco d'incidenza tra i 5 e i 10 anni di età. La sopravvivenza media è molto bassa (9 -12 mesi) e meno del 2% dei bambini sopravvive a 5 anni dalla diagnosi, nonostante i trattamenti radio e chemioterapici. Purtroppo, non è stata ancora individuata una cura efficace. Lo studio per il trattamento sperimentale dei "gliomi del ponte" è stato condotto dal team multidisciplinare di Neuro-Oncologia (clinici, chirurghi, patologi, biologi) del Bambino Gesù. La ricerca è durata 4 anni e ha coinvolto 25 pazienti di età compresa tra i 5 e i 14 anni. La terapia sperimentale si è basata sullo studio delle caratteristiche genetiche del tumore di ogni singolo paziente incluso nella ricerca: porzioni di tessuto tumorale ottenute tramite biopsia sono state analizzate alla ricerca di anomalie genetiche che potessero essere il bersaglio di farmaci già disponibili. Questa fase di indagine genetica sui tumori è stata possibile grazie a tecnologie di Next Generation Sequencing (Ngs) per la diagnosi molecolare avanzata, disponibili nei Laboratori di diagnostica dell'Ospedale. In base ai risultati di laboratorio, oltre alla terapia standard, a 9 bambini su 25 è stato possibile somministrare in un secondo momento anche farmaci 'target', cioè diretti contro le specifiche mutazioni individuate nel loro tumore. Nei pazienti trattati con la terapia personalizzata non sono stati rilevati effetti collaterali gravi e la sopravvivenza media è passata da meno di 12 mesi dalla diagnosi a circa 24 mesi. "La combinazione di terapia standard e farmaci mirati ha portato a risultati mai ottenuti prima nel trattamento di questa terribile forma di cancro", spiega Angela Mastronuzzi, coordinatrice dello studio e responsabile di Neuro-Oncologia, struttura del Dipartimento di Oncoematologia, Terapia cellulare, Terapie geniche e Trapianto emopoietico diretto da Franco Locatelli. "Per i gliomi H3K27M alterati oggi non esiste una cura - prosegue Mastronuzzi - ma questi tumori possono esprimere altre anomalie genetiche contro cui abbiamo delle armi". La ricerca scientifica verso una cura efficace intanto prosegue su più fronti: all'Ospedale pediatrico della Santa Sede è in fase di autorizzazione da parte degli enti regolatori un nuovo trattamento dei tumori cerebrali con cellule Car-T geneticamente modificate coordinato da Locatelli.

Giovanna Pasqualin Traversa