
Tumori pediatrici: dall'Ospedale Bambino Gesù la prima terapia con cellule Car T efficace nella cura del neuroblastoma

È stata progettata all'Ospedale pediatrico Bambino Gesù di Roma 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 professor Franco Locatelli, è stato sperimentato tra il 2018 e il 2021 su 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. Obiettivo, "verificare se la terapia con le cellule Car T fosse in grado di cambiare la storia naturale della loro malattia", spiega 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. 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 appena pubblicati sulla prestigiosa rivista di medicina New England Journal of Medicine. Il neuroblastoma rappresenta circa il 7-10% dei tumori nei bambini tra 0 e 5 anni, è 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%. In Italia vengono formulate circa 120-130 nuove diagnosi all'anno. "I risultati di questo studio", commenta Locatelli, "documentano come il trattamento con cellule Car T possa cambiare significativamente lo scenario di cura anche nei tumori solidi".

Giovanna Pasqualin Traversa