



GOLD FOR KIDS L'IMPEGNO DI FONDAZIONE UMBERTO VERONESI NELL'ONCOLOGIA PEDIATRICA: COSA ABBIAMO GIÀ FATTO

Nel 2014 nasce il progetto Gold for Kids di **Fondazione Umberto Veronesi** a sostegno dell'oncologia pediatrica. L'obiettivo di Gold for Kids è sostenere le migliori cure secondo i più elevati standard internazionali per i pazienti di oggi e favorire la ricerca clinica per i pazienti di domani.

Per fare questo, Fondazione Umberto Veronesi lavora in sinergia con **AIEOP (Associazione Italiana di Ematologia e Oncologia Pediatrica)** e la sua fondazione, **FIEOP**, a cui vengono devoluti i fondi raccolti per sostenere le spese di apertura e gestione dei protocolli di cura nei reparti di oncologia pediatrica di tutta Italia.

L'arruolamento dei piccoli pazienti colpiti da tumore e specifici protocolli di diagnosi e cura ha costituito uno dei pilastri del successo in oncoematologia pediatrica.

I protocolli offrono un **approccio uniforme e standard** secondo i criteri di buona pratica clinica, e rappresentano lo **strumento migliore per la ricerca** clinica internazionale.

I costi di apertura e gestione dei protocolli sono principalmente la copertura assicurativa, la centralizzazione e lo studio del materiale biologico, la raccolta e l'analisi dei dati e il monitoraggio dei pazienti.

Grazie alla generosità di molti, **nei primi due anni sono stati raccolti circa 430.000 euro**. Nel biennio 2014-2015 ciò ha reso possibile **l'apertura di due studi clinici** (leucemia mieloide acuta e linfoma di Hodgkin) e **tre studi osservazionali** (MOD 1.01, ROT e leucemia mieloide cronica).

Ecco, nei dettagli, la descrizione degli studi clinici e osservazionali aperti anche grazie a tutti coloro, privati e aziende, che hanno deciso di sostenere Gold for Kids nei suoi primi due anni di attività.



CIÒ CHE ABBIAMO FATTO NEL 2014 - 2015

• **Leucemia mieloide acuta** **PROTOCOLLO LAM 2013: implementazione di un registro**

Le leucemie mieloidi acute sono un gruppo eterogeneo di tumori ematologici ma accumulati da alcune connotazioni biologiche e cliniche peculiari. Sono una malattia rara nel bambino, rappresentando circa il **15-20% delle leucemie acute dell'età pediatrica**.

In Italia, ogni anno, si ammalano di leucemie acute mieloidi (LAM) circa **60-70 bambini** d'età compresa **tra zero e 15 anni**. Questo studio, a carattere nazionale, è coordinato dall' Ospedale Pediatrico Bambin Gesù di Roma.

Il protocollo è stato avviato ed è iniziato l'arruolamento dei pazienti, compresi tra zero e 18 anni di età: il protocollo durerà **5 anni** e potrà curare **60 pazienti all'anno**.

Fondazione Umberto Veronesi ha finanziato lo **sviluppo del database** per la raccolta e l'analisi dei dati.

• **Linfoma di Hodgkin** **PROTOCOLLO EURONET PHL C2**

In Italia ogni anno, a circa **100 bambini e adolescenti** viene diagnosticato il linfoma di Hodgkin. Negli ultimi 30 anni, la ricerca medica e scientifica ha compiuto passi da gigante nella cura di questo tumore del sangue: **oggi si riescono a curare il 90% dei pazienti**.

Data la giovane età dei pazienti, gli sforzi della ricerca sono anche quelli di **ridurre al minimo la tossicità**, per garantire una migliore qualità di vita da adulti, dopo le cure.

L'obiettivo del protocollo **EURONET PHL C2** è proprio quello di ridurre il carico di terapia nei pazienti con una buona risposta ai primi cicli, per contenere al minimo gli effetti tossici tardivi.

Il protocollo, a carattere internazionale, è coordinato in Italia dal Centro di Riferimento Oncologico di Aviano (PN) e permetterà di curare **80 pazienti all'anno in Italia**.

Fondazione Umberto Veronesi ha finanziato l'implementazione della piattaforma per immagini, il trasporto per la centralizzazione dei campioni, la revisione istologica centralizzata e i costi di gestione del protocollo.

• **Studio osservazionale MOD 1.01 per l'osservazione dei pazienti curati nei centri AIEOP e IPINet (network AIEOP per la diagnosi e la terapia delle Immunodeficienze primitive)**

Il tumore nel bambino e nell'adolescente è una patologia rara, ma di estrema rilevanza in termini sociale e di sanità pubblica, e ancora più rare sono le immunodeficienze primitive.

Negli ultimi trent'anni, la ricerca medica ha investito notevoli risorse per la diagnosi e la terapia dei tumori dell'età pediatrica, riuscendo in molti casi a curare la maggior parte dei pazienti. **La raccolta delle informazioni cliniche in registri nazionali e standard è essenziale per far progredire la ricerca clinica** e aiutare i medici a **sviluppare terapie sempre più efficaci e meno tossiche**.

L'obiettivo dello studio è quello di costruire un unico registro ospedaliero permanente dei dati raccolti nei centri ospedalieri AIEOP e IPINET, per fornire preziose informazioni cliniche sui diversi tumori e sulle immunodeficienze primitive e contribuire a migliorare sempre di più le cure.

Verranno analizzati i dati già raccolti dal registro AIEOP MOD 1.01 di circa **45.000 pazienti diagnosticati dal 1975 al 2013** più altri **17.500** stimati **nei prossimi 10 anni**.

Fondazione Umberto Veronesi ha finanziato l'implementazione del nuovo software per la gestione del database dello studio.



**Fondazione
Umberto Veronesi**
– per il progresso
delle scienze



• Studio osservazionale OFF-THERAPY ROT sui pazienti fuori terapia dopo un tumore pediatrico

Ogni anno in Italia si ammalano di tumore circa **1600 bambini tra gli zero e i 14 anni**.

Grazie ai progressi della ricerca medica e scientifica ottenuti a partire dall'inizio degli anni '70, oggi circa il 75% dei bambini trattati con le moderne terapie guarisce ed è in remissione a 5 anni dalla diagnosi. Possono le terapie oncologiche avere un effetto tardivo sulla vita dei bambini curati? Sì, in alcuni casi possono interferire con i processi fisiologici di crescita e sviluppo ed avere nella vita futura un impatto importante sulla salute. È importante quindi conoscere l'impatto a distanza dei trattamenti antitumorali per sviluppare terapie sempre meno invasive.

L'obiettivo dello studio è **costruire un registro un registro dei pazienti che sopravvivono a lungo dopo la diagnosi di un tumore** per identificare fattori di rischio che possano influenzare la sopravvivenza e la qualità della vita. In particolare, analizzare le cause di morte oltre i 5 anni dalla diagnosi, la comparsa di secondi tumori o di complicanze, soprattutto cardiache.

Lo studio analizzerà i dati già raccolti dal precedente registro ROT e li integrerà con i dati dei pazienti successivi; resterà **attivo almeno 10 anni** e ad oggi, si stima che verranno seguiti circa **14.000 pazienti**.

Fondazione Umberto Veronesi ha finanziato lo **sviluppo del database per la raccolta e l'analisi dei dati**.

• Studio osservazionale leucemia mieloide cronica - AIEOP CML STUDY 2012

La leucemia mieloide cronica è tumore maligno del sangue molto raro nei bambini e negli adolescenti; rappresenta il **2-3% di tutte le leucemie** in questa fascia di età e per questo motivo si sa ancora poco del decorso e delle caratteristiche della malattia nei più piccoli.

Attualmente sono due le opzioni di cura nei bambini affetti da questa leucemia: il trapianto di cellule staminali del sangue, se è disponibile un donatore compatibile, o una terapia coi farmaci inibitori della tirosin-chinasi¹. In età pediatrica, la scelta di quale sia la terapia migliore è ancora controversa, a causa della rarità della malattia nei bambini e negli adolescenti e quindi della mancanza di informazioni sul decorso della malattia.

L'obiettivo è quello di **analizzare in uno studio osservazionale le caratteristiche della leucemia mieloide cronica** nei bambini e ragazzi di età inferiore a 18 anni **per capire la terapia migliore** per curare i piccoli pazienti.

Lo studio verrà mantenuto per almeno **10 anni**. Si ipotizza di seguire **circa 10 - 15 nuovi casi all'anno** e **altri 100 i cui dati sono già disponibili**.

Lo studio, di tipo nazionale, coordinato dall'Ospedale San Gerardo di Monza, contribuirà a progetti internazionali.

Fondazione Umberto Veronesi ha finanziato lo **sviluppo del database per la raccolta e l'analisi dei dati**.

¹ Le tirosin-chinasi sono enzimi coinvolti nella trasmissione dei segnali biochimici, tra cui quelli della divisione cellulare. Sono attive in modo anomalo nelle cellule tumorali e contribuiscono a sostenere la crescita incontrollata.



**Fondazione
Umberto Veronesi**
– per il progresso
delle scienze

