



Telephone conference  
18/5/2023  
Ore 15.30-17.00  
Report preparato da E. Opocher

**Partecipanti:** Nicoletta Bertorello (NB), Luca Bergamaschi (LB), Michela Casanova (MC), Maria Giuseppina Cefalo (MGC), Daniela di Carlo (DdC), Virginia Livellara (VLi), Veronica Leoni (VL), Federico Mercolini (FM), Enrico Opocher (EO), Alberto Romano (ARo),

**Assenti:** Loredana Amoroso (LA), Luca Lo Nigro (LLN), Silvia Sorbara (SS) Carmelo Rizzari (CR),  
Giovanna Sironi (GS), Antonio Ruggiero (AR),

- 1) **SACHA update:** è stata presentata la documentazione dal PI (NB) al Comitato Etico (CE) di Torino. Non è ancora stato espresso alcun giudizio. Il protocollo è stato inviato al centro di coordinamento (CE nazionale) (Prof Petrini), poi passato al CE nazionale pediatrico (di cui fa parte A. Mastronuzzi) che farà una relazione da mettere agli atti per la valutazione del CE nazionale pediatrico. Entro un mese dalla richiesta è prevista una risposta. In corso quindi valutazioni del CE nazionale.
- 2) **Tabella tumori solidi aggiornata per sito AIEOP (L. Bergamaschi)**
  - **A Phase 1/2 Study of the Oral RET Inhibitor LOXO-292 in Pediatric patients with Advanced RET-Altered Solid or Primary Central Nervous System Tumors**  
Selpercatinib in tutti i tumori solidi con alterazione di RET, arruolamento aperto ma molto lento vista la patologia super rara. CENTRO COORDINATORE - Istituto Nazionale dei Tumori di Milano, PI Casanova
  - **An Open-Label, Single-Arm, Phase 1/2 Study Evaluating the Safety and Efficacy of Ponatinib for the Treatment of Recurrent or Refractory Leukemias or Solid Tumors in Pediatric Participants**  
Ponatinib emato/solidi: aperta fase II con selezione in base al target (tu solidi e LMA resistente/refrattaria ad almeno una linea di trattamento). Impresione: farmaco utile per LMC. CENTRO COORDINATORE OPBG, PI Locatelli
  - **A phase 1/2, open-label, dose-escalation and expansion study of Entrectinib (RXDX-101) in pediatrics with locally advanced or metastatic solid or primary CNS tumors and/or who have no satisfactory treatment options**  
Entrectinib (NTRKi/ROS1i) per tutti tumori solidi con fusione di NTRK o ROS1 - prevista chiusura a breve ma merging nello studio Tapistry..CENTRO COORDINATORE - Istituto Nazionale dei Tumori di Milano, PI Casanova
  - **Acsé-ESMART : European Proof-of-Concept Therapeutic Stratification Trial of Molecular Anomalies in Relapsed or Refractory Tumors**  
Approvazione ISS per apertura nuovi bracci (in attesa di approvazione AIFA) in attivazione Torino/Genova (ITCC early phase centres) e, con il prossimo emendamento è prevista

l'apertura anche di OPBG. CENTRO COORDINATORE - Istituto Nazionale dei Tumori di **Milano** PI Casanova

- **A Phase 1b Dose Escalation Study of Abemaciclib in Combination with Temozolomide and Irinotecan (Part A) and Abemaciclib in Combination with Temozolomide (Part B) in Pediatric and Young Adult Patients with Relapsed/Refractory Solid Tumors**

Abemaciclib fase Ib ancora aperto. CENTRO COORDINATORE Policlinico Gemelli di Roma, PI Ruggiero

- **Tumor Agnostic Precision Immuno-oncology and Somatic Targeting Rational for You (TAPISTRY) phase II platform trial**

Come discusso nella teleconferenza precedente possibilità di offrire sequenziamento anche nei centri dove lo studio non è aperto. CENTRO COORDINATORE Policlinico Gemelli di Roma, PI Ruggiero

- **A Pivotal Phase 2 Trial of Antibody Naxitamab (hu3F8) and Granulocyte-Macrophage Colony Stimulating Factor(GM-CSF) in High-Risk Neuroblastoma Patients with Primary Refractory Disease or Incomplete Response to Salvage Treatment in Bone and/or Bone Marrow**

Naxitamab per NBL alto rischio: difficoltà per criteri di inclusione e trattamento. Oltre ad INT, OPBG aprirà in 2-3 mesi. CENTRO COORDINATORE Istituto Gaslini di Genova, PI Amoroso

- **A phase 1/2, open-label, multicenter study evaluating the safety, PK and efficacy of alectinib in pediatric patients with ALK fusion-positive solid or CNS tumors from whom prior treatment has proved to be ineffective or from whom there is no curative standard treatment available**

Alectinib per pazienti con fusion di ALK (anche SNC!). CENTRO COORDINATORE - Istituto Nazionale dei Tumori di Milano, PI Casanova

- **Studio Clinico di Fase 1 sull'utilizzo di immunoterapia adottiva con cellule Cytokine Induced Killer (CIK) autologhe in pazienti con diagnosi di sarcoma avanzato non operabile recidivato/refrattario alle terapie convenzionali**  
Protocollo CIK autologhe chiuso ad Aprile 2023 per arruolamento insufficiente e chiusura Lab TMO

- **A Phase III, Multicentre, International Study with a Parallel, Randomised, Double-blind, Placebo-controlled, 2 Arm Design to Assess the Efficacy and Safety of Selumetinib in Adult Participants with NF1 who have Symptomatic, Inoperable Plexiform Neurofibromas – (KOMET)**

Finito reclutamento.

- **A Phase I/II, Single-Arm, Open-label Study to Evaluate the Pharmacokinetics, Safety/Tolerability and Efficacy of the Selumetinib Granule Formulation in Children Aged  $\geq 1$  to  $< 7$  Years with Neurofibromatosis Type 1 (NF1) Related Symptomatic, Inoperable Plexiform Neurofibromas (PN) - (SPRINKLE)**

Aperto studio SPRINKLE per bambini piccoli con NF1-PN

- **A phase1B of crizotinib either in combination or as single agent in pediatric patients with ALK, ROS1 or MET positive malignancies (CRISP Study - ITCC 053).** Crizotinib (+ tansorolisum nei neuroblastomi): per IMT ed altri tumori ALK mutati (no coorte ALCL): arruolamento attivo emendamento 1.6 (in Italia) mentre in altri paesi è aperto emendamento 2.1- in Italia ancora fermo nei CE Milano e Roma per problemi di definizione profit/no profit. Ricevuta approvazione emendamento da ISS/AIFA, in corso rivalutazione dei CE. Non essendo uno studio registrativo non necessariamente è da considerarsi come studio profit. Ma legge non chiara. CENTRO COORDINATORE - Istituto Nazionale dei Tumori di Milano, PI Casanova

- **A Phase 1/2, Single-arm Study to Evaluate the Safety, Pharmacokinetics, and Anti-tumor Activity of Avapritinib in Pediatric Patients with Solid Tumors Dependent on KIT or PDGFRA Signaling**

Avapritinib- HGG H3K27M alterati recidivati targeting PDGFRA o c-KIT, protocollo aperto da poco. CENTRO COORDINATORE - Istituto Nazionale dei Tumori di Milano, PI Casanova

- **A Randomized, Open-Label, Phase 2 Study Evaluating Abemaciclib in Combination With Irinotecan and Temozolomide in Participants With Relapsed or Refractory Ewing's Sarcoma**

Abemaciclib fase II per sarcoma di Ewing. CENTRO COORDINATORE Policlinico Gemelli di Roma, PI Ruggiero

A breve verrà presentato studio Ribociclib -TOTEM aperto a Milano 11/5 per tumori solidi refrattari, es Neuroblastoma e in apertura anche il protocollo con Palbociclib negli Ewing.

Studio Novartis con Lutathera nei tumori neuroendocrini non reseccabili e refrattari ad una terapia precedente aperto a OPBG, da chiarire i criteri di inclusione.

Una volta completata la tabella verrà inviata alla Segreteria AIEOP per caricarla sul sito ed eventuale diffusione. Da valutare se inviare anche a Mastronuzzi che aggiungerà la tabella su linkedin AIEOP in modo da renderla visibile a tutti.

Discussione breve su come le *companies* selezionano i centri e su quali strategie siano possibili per facilitare l'accesso ai trial da parte di alcuni centri che vengono meno spesso coinvolti, con l'obiettivo di offrire accesso ai trial più capillare e non sovrapponendo studi con simili criteri di inclusione negli stessi centri.

Al prossimo incontro (8/6/2023) V. Leoni ci darà un aggiornamento sulla tabella leucemie/Infomi nel prossimo GDL