

BOLOGNA

Zanhotel Europa

14-15 Aprile 2025



GdL Tumori Rari

Maria Debora De Pasquale

Ospedale Pediatrico Bambino Gesù

Disclosures of Name Surname

Il sottoscritto Maria Debora De Pasquale

ai sensi dell'art. 3.3 sul Conflitto di Interessi, pag. 17 del Reg. Applicativo dell'Accordo Stato-Regione del 5 novembre 2009,

dichiara

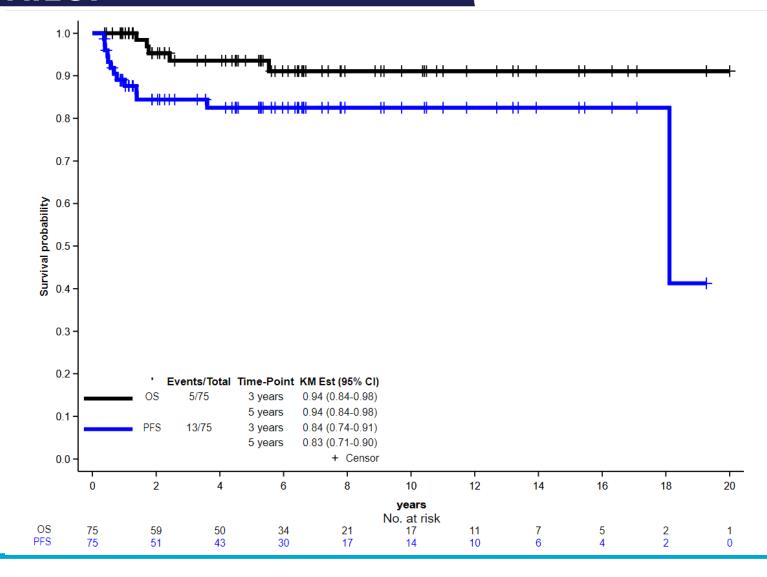
che negli ultimi due anni NON ha avuto rapporti diretti di finanziamento con soggetti portatori di interessi commerciali in campo sanitario

Vaginal germ cell tumors, international retrospective VAGIPED study

Cécile Faure-Conter^a, Luiz Fernando Lopes^b, Yijin Gao^c, Gabriele Calaminus^d, Monica Terenziani^e, Maria Debora De Pasquale^f, Agnes Vojcek^g, Velikonja Orjana^h, Joanna Stefanowiczⁱ, Shayi Jiang^j, Xiaojun Yuan^k, Yali Han^l, Ricardo López-Almaraz^m, Anthony Pennⁿ, Claire Stokes^o, Michelle Nuno^p, Lindsay Frazier^q, Deborah F. Billmire^r, Brice Fresneau^s, and Claire Cropet^t



BOLOGNA 14-15 APRILE 2025





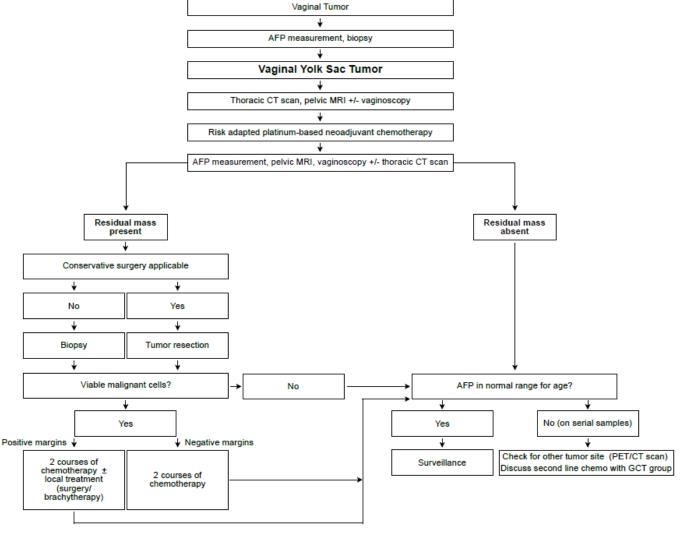




Figure 3



• Prognosi eccellente:

----- > EFS a 5 anni: 83%, OS: 94%.

- Chemioterapia neoadiuvante come standard
- La chirurgia iniziale (oltre alla biopsia) non è raccomandata.
 - Valutazione del residuo tumorale
- ---→La vaginoscopia si è dimostrata più efficace rispetto alle tecniche di imaging standard (TC/RM) nella rilevazione del residuo tumorale → fortemente raccomandata per la valutazione post-chemioterapia.
 - Ruolo della chirurgia:
- -→In assenza di residuo tumorale (confermato da vaginoscopia) e marcatori tumorali negativi, la chirurgia può essere evitata.
- Nei casi con residuo tumorale, è preferibile una chirurgia **conservativa** (resezione parziale della vagina).

Studio retropettivo AIEOP sul Carcinoma Epatocellulare dal 2010 ad Oggi

mdebora.depasquale@opbg.net

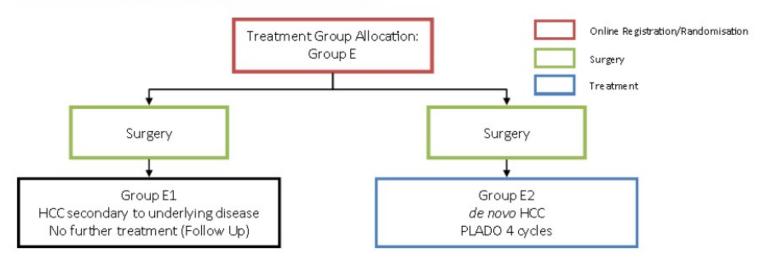
BOLOGNA 14-15 APRILE 2025



Paediatric Hepatic International Tumour Trial

PHITT Version 2.0a 17th January 2018

Figure 11 Group E Resected HCC Patients: Overview







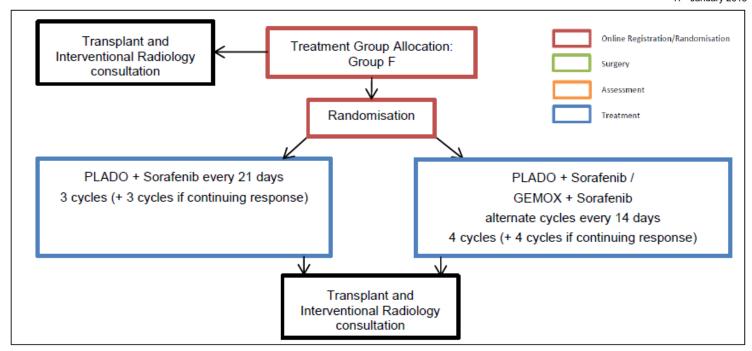


Paediatric Hepatic International Tumour Trial

PHITT

Figure 12 Group F Unresected/metastatic HCC Patients: Overview

Version 2.0a
17th January 2018





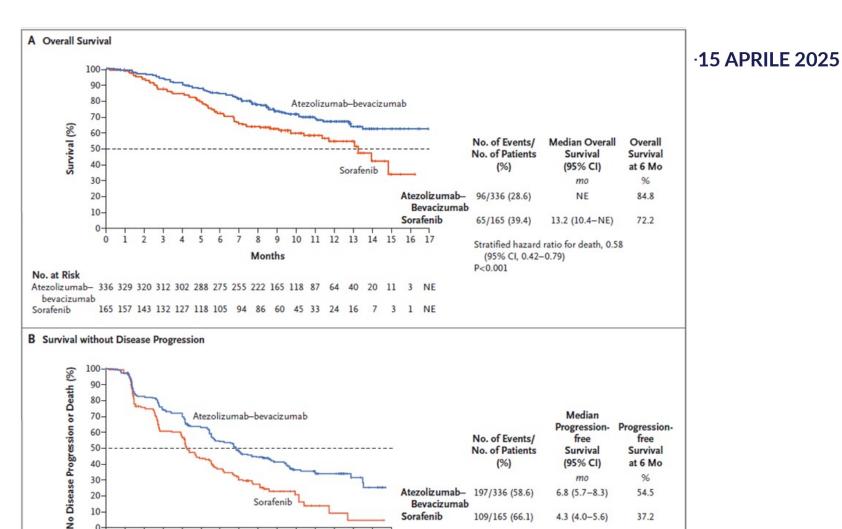
Giornat

The NEW E

Atezolizu in Unresectabl

Richard S. Finn, M.D., Shukui Michel Ducreux, M.E. Valeriy Breder, M.D., Philippe Wendy Verret, Ph.D., Derek-Z Chen Huang, M.D., Sohail N Andrew X. Zhu for t

NENGLIN



Survival

(95% CI)

mo

6.8 (5.7-8.3)

4.3 (4.0-5.6)

Stratified hazard ratio for progression or death,

(%)

109/165 (66.1)

P<0.001

0.59 (95% CI, 0.47-0.76)

Atezolizumab- 197/336 (58.6)

Bevacizumab

Sorafenib

Survival

at 6 Mo %

54.5

37.2

Figure 1. Kaplan-Meier Analysis of Overall and Progression-free Survival.

Atezolizumab- 336 322 270 243 232 201 169 137 120 74 50 46 34 11 7 NE

Months

165 148 109 84 80 57 44 34 27 15 9 4 2 1 1 NE

40-

30-

20-

10-

No. at Risk

Sorafenib

bevacizumab

Giornate A

Atezolizumab patients with recarcinoma (IMk multicentre, pk

Shukui Qin*, Minshan Chen*, Ann-l Xiaoyu Wen, Jeong Heo, Won Young Qinshu Lian, Ning Ma, Jessica H Spa

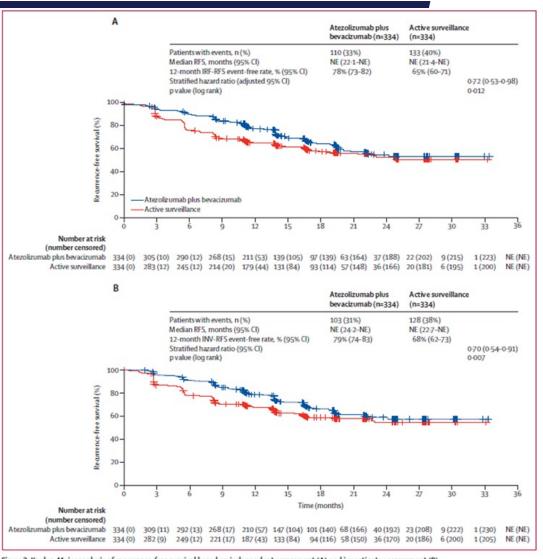


Figure 2: Kaplan-Meier analysis of recurrence-free survival based on independent assessment (A) and investigator assessment (B)

Kaplan-Meier estimates of IRF-assessed (A) and INV-assessed (B) RFS in patients in the intention-to-treat population. Stratified hazard ratios for recurrence or death are reported, along with p values. Stratification factors included in the stratified p value and Cox model are per interactive voice web response system. Censored events are indicated with a + symbol. IRF-independent review facility. INV-investigator. RFS-recurrence-free survival. NE-could not be evaluated.

A 14-15 APRILE 2025

ce in ar

hen P Hack,

2023; 402: 1835-47

Giornate Alege

POI OGNA 14-15 APRILE 2025

Drug-eluting beads transarterial chemoembolization vs conventional transarterial chemoembolization in the treatment of hepatocellular carcinoma in adult patients: a systematic review and update meta-analysis of observational studies

Tatiana Chernyshenko^{1,2}, Roman Polkin^{1,3*}, Ekaterina Dvoinikova^{1,2}, Valeriy Shepelev^{1,3} and Roman Goncharuk^{1,2}

¹Department of Surgery, Far Eastern Federal University, Vladivostok, Russia, ²Medical Center, Far Eastern Federal University, Vladivostok, Russia, ³Department of Neurosurgery, 1477th Naval Clinical Hospital, Vladivostok, Russia



TYPE Systematic Review
PUBLISHED 12 February 2025
DOI 10.3389/fonc.2024.1526268

BOLOGNA 14-15 APRILE 2025

Dal 2010: 59 pazienti

	A	В	C D	E
1	CENTRO	CODICE	N CASI 🚚	
2	IRCCS Ospedale Pediatrico Bambino Gesu, Dipartimento di Oncoematologia e Terapia Cellulare e Genica	1114	18	
3	Fondazione IRCCS Istituto Nazionale Tumori SC Pediatria Oncologica	0307	13	
4	AOU Citta' della Salute e della scienza di Torino Presidio Infantile Regina Margherita SC Oncoematologia Pediatrica e centro Trapianti	101	4	
5	Azienda Ospedaliera di Padova oncoematologia pediatrica	0401	4	
6	AO Policlinico, Dipartimento di pediatria- BARI	1308	3	
7	A.O.U Meyer Centro di Eccellenza Oncologia ed Ematologia pediatrica - SOC Oncologia, Ematologia e Trapianto di Cellule Staminali Emopoietiche	0701	2	
8	AORN Santobono-Pausilipon, Dipartimento di Oncoematologia	1203	2	
9	CROP: Centro Regionale di Oncoematologia Pediatrica - Regione Toscana (Meyer)	0707	2	
10	Dipartimento funzionale di Emato-Oncologia Pediatrica Istituto G.Gaslini	0201	2	
11	Ospedale Papa Giovanni XXIII USS Oncoematologia Pediatrica -Bergamo	0304	2	
12	Policlinico Gemelli, UOC Oncologia Pediatrica	1106	2	
13	AOU Policlinico Vittorio Emanuele, UOC Ematologia ed oncologia pediatrica con TMO- CATANIA	1502	1	
14	ARNAS Civico di Cristina e Benfratelli UOC Oncoematologia Pediatrica	1501	1	
15	Ospedale S. Chiara, AOU Pisana, UO Oncoematologia pediatrica (meyer)	0703	1	
16	SC Oncoematologia Pediatrica e Patologia della Coagulazione, Ospedale Pediatrico Microcitemico "Antonio Cao", Azienda Ospedaliera Brotzu (CA)	1602	1	
17	Spedali civili, presidio Ospedale dei Bambini oncoematologia pediatrica e TMO	305	1	
18		_		
19				

Dal 2020: 24 pazienti

Α	В	С	D	E	F	G	Н	1	
UPN	CODICE CENTRO	CENTRO DI REGISTRAZIONE	CODICE	CENTRO ATTUALE	SESSO	ANNO DI	STATO DI	ANNO DI	CL
	DI		CENTRO			NASCITA	NASCITA	DIAGNOSI	(b
_	REGISTRAZIONE		ATTUALE					_	
▼.		↓ Î	_	▼	<u>*</u>		▼.	_	T,
1073877	_	AORN Santobono-Pausilipon,	1203	AORN Santobono-Pa	Maschio	2014	Italia	2022	He
1078233		AORN Santobono-Pausilipon,	1203	AORN Santobono-Pa	Maschio	2007	Italia	2023	He
1019916		AOU Citta' della Salute e della	0101	AOU Citta' della Salu	Femmina	1997	Italia	2020	He
1077298		AOU Citta' della Salute e della	0101	AOU Citta' della Salu	Femmina	2010	Italia	2023	He
1074242	0401	Azienda Ospedaliera di Padov	0401	Azienda Ospedaliera	Femmina	2006	Italia	2022	He
1076000	0707	CROP: Centro Regionale di On	0707	CROP: Centro Region	Maschio	2006	Italia	2023	He
1076969	0707	CROP: Centro Regionale di On	0707	CROP: Centro Region	Femmina	2007	Italia	2023	He
1079249	0201	Dipartimento funzionale di En	0201	Dipartimento funzio	Femmina	2010	Italia	2024	He
1078346	0307	Fondazione IRCCS Istituto Naz	0307	Fondazione IRCCS Ist	Maschio	2022	Italia	2022	He
1078352	0307	Fondazione IRCCS Istituto Naz	0307	Fondazione IRCCS Ist	Maschio	2006	Congo (the Den	2022	He
1078383	0307	Fondazione IRCCS Istituto Naz	0307	Fondazione IRCCS Ist	Maschio	2008	Ukraine	2022	He
1072291	1114	IRCCS Ospedale Pediatrico Ba	1114	IRCCS Ospedale Pedi	Femmina	2004	Italia	2021	He
1072991	1114	IRCCS Ospedale Pediatrico Ba	1114	IRCCS Ospedale Pedi	Femmina	2009	Italia	2021	He
1073891	1114	IRCCS Ospedale Pediatrico Ba	1114	IRCCS Ospedale Pedi	Femmina	1995	Italia	2022	He
1074480	1114	IRCCS Ospedale Pediatrico Ba	1114	IRCCS Ospedale Pedi	Femmina	2009	Italia	2022	Не
1074694	1114	IRCCS Ospedale Pediatrico Ba	1114	IRCCS Ospedale Pedi	Femmina	2021	Madagascar	2022	Не
1076098	1114	IRCCS Ospedale Pediatrico Ba	1114	IRCCS Ospedale Pedi	Femmina	2009	Italia	2023	Не
1076119	1114	IRCCS Ospedale Pediatrico Ba	1114	IRCCS Ospedale Pedi	Femmina	2022	Kosovo	2023	Не
1077014	1114	IRCCS Ospedale Pediatrico Ba	1114	IRCCS Ospedale Pedi	Maschio	2016	Italia	2023	Не
1078011	1114	IRCCS Ospedale Pediatrico Ba	1114	IRCCS Ospedale Pedi	Maschio	2009	Italia	2023	Не
1078603	1114	IRCCS Ospedale Pediatrico Ba	1114	IRCCS Ospedale Pedi	Femmina	2013	Italia	2024	Не
1071300	1106	Policlinico Gemelli, UOC Onco	1106	Policlinico Gemelli,	Maschio	2009	Italia	2020	He
1077711	1106	Policlinico Gemelli, UOC Onco	1106	Policlinico Gemelli,	Femmina	2005	Italia	2023	He
107 3 7	1602	SC Oncoematologia Pediatrica	1602	SC Oncoematologia	Maschio	2008	Italia	2020	Н

Diagnosi corretta e Centralizzazione istopatologicomolecolare



Perchè è importante?

- Garantire gli studi molecolari e di immunofenotipizzazione come per i pz negli studi SIOPEL
- Rarità di questi tumori: la categoria HCN-NOS poco conosciuta e criteri condivisi dal panel internazionale
- Possibilità di revisione istologica del caso in tempi brevi dal panel Europeo e USA

...anche in assenza di uno studio interventistico specifico (sufficiente un consenso informato e l'invio al centro di riferimento OPBG)

WHO (2020)

Serous tumors

- Serous cystadenoma, adenofibroma and surface papilloma
- o Serous borderline tumor
 - Serous borderline tumor, micropapillary variant
- o Low grade serous carcinoma
- o High grade serous carcinoma

Mucinous tumors

- o Mucinous cystadenoma and adenofibroma
- o Mucinous borderline tumor
- o Mucinous carcinoma

Endometrioid tumors

- o Endometrioid cystadenoma and adenofibroma
- o Endometrioid borderline tumor
- o Endometrioid carcinoma

Clear cell tumors

- Clear cell cystadenoma and adenofibroma
- Clear cell borderline tumor
- o Clear cell carcinoma

Seromucinous tumors

- o Seromucinous cystadenoma and adenofibroma
- Seromucinous borderline tumor

Brenner tumors

- Brenner tumor
- o Borderline Brenner tumor
- Malignant Brenner tumor

Other carcinomas

- Mesonephric-like adenocarcinoma
- o <u>Undifferentiated and dedifferentiated carcinoma</u>
- Carcinosarcoma
- Mixed carcinoma

Original Study

Epithelial Tumors of the Ovary in Children and Teenagers: A Prospective Study from the Italian TREP Project



Calogero Virgone MD ^{1,*}, Rita Alaggio MD ², Patrizia Dall'Igna MD ¹, Piero Buffa MD ³, Luca Tonegatti MD ⁴, Andrea Ferrari MD ⁵, Gianni Bisogno MD ⁶, Giovanni Cecchetto MD ¹

Ginical Characteristics of 8 Girls Affected by Borderline Epithelial Tumors of the Ovary in the TREP Project

	Age (mo)	Side	Symptoms	Size (cm)	Markers	First Surgery	Complete Staging	Histology	Stage	Second Surgery	Outcome (FU)
1	135	L	Diarrhea	16.3	-	OS	Yes	Mucinous	III (washing+)	_	CR (80)
2	159	L	Ovarian torsion	4	_	Tumore ctomy	Yes	Mucinous (endocervical type)	1	_	CR (12)
3	163	R	Pain, mass	30	CA-125	OS	Yes	Mucinous	III (washing +)	_	CR (39)
4	158	L	Pain, mass	20	_	OS	Yes	Mucinous (intestinal type)	1	_	CR (72)
5	136	L	Ascites	19	CA-125	OS	Yes	Mucinous (endocervical type)	1	_	CR (84)
6	195	R	Ovarian torsion	12	_	Tumorectomy	No	Serous	III (washing +, omental implants)	O + complete staging	CR* (50)
7	206	В	Incidental diagnosis	R7 L9	CA-125, CA-199	Bilateral OS	Yes	Serous	(washing +, omental implants)	_	CR (48)
8	184	В	Amenorrhea	R 8	CA-125	Bilateral tumorectomy	Yes	Serous	III(omental implants)	_	CR (12)

FU, follow-up; I, left; R, right; B, bilateral; OS, ovarian salpingectomy; O, ovarectomy; CR, complete remission.

FU, follow-up; L, left; R, right; B, bilateral; OS, ovarian salpingectomy; O, ovarectomy; CR, complete remission; DOD, died of disease; αFP, alpha-fetoprotein.

¹ Pediatric Surgery, Department of Women's and Children's Health, University-Hospital of Padua, Padua, Italy

Synchronous neuroendocrine tumor of the appendix.

^{*} Deceased due to bilateral Wilms tumor progression.



Contents lists available at ScienceDirect

Maturitas

journal homepage: www.elsevier.com/locate/maturitas



Malignant and borderline epithelial ovarian tumors in the pediatric and adolescent population



Results: A total of 114 cases diagnosed with BOT between 1988 and 2000 were identified; 61/114 (53.5%) and 51/114 (44.8%) of BOT were of serous or mucinous histology respectively. Ten-year OS for those with BOT was 97.3%. A total of 140 cases of EOC were identified. Median age was 17 years and the most common histological subtypes were mucinous 79/140 (56.4%) and serous 29/140 (20.7%) adenocarcinoma. Most had stage I disease 92/131 (70.2%) and fertility-sparing surgery was commonly performed. Five-year OS for those with stage I disease was 93.6% compared to 48.3% for cases with exta-ovarian tumor spread (p<0.001).

Conclusions: BOT and EOC are exceedingly rare in the pediatric and adolescent population. In this age group EOC consists mostly of low-grade mucinous and serous tumors confined to the ovary. OS survival for those with stage I disease is excellent.

PEDIATRICS Volume 144, number 1, July 2019:e20182537

Factors Associated With Management of Pediatric Ovarian Neoplasms

RESULTS: Among 819 girls and women undergoing surgery for an ovarian neoplasm, malignant lesions were identified in 11%. The overall oophorectomy rate for benign disease was 33% (range: 15%–49%) across institutions. Oophorectomy for benign lesions was independently associated with provider specialty (P = .002: adult gynecologist, 45%; pediatric surgeon, 32%; pediatric gynecologist, 18%), premenarchal status (P = .02), preoperative suspicion for malignancy (P < .0001), larger lesion size (P < .0001), and presence of solid components (P < .0001). Preoperative findings independently associated with malignancy included increasing size (P < .0001), solid components (P = .003), and age (P < .0001).

Valutare la prevalenza dei tumori epiteliali ovarici pediatrici in Italia (diagnosi dal 2015 a oggi)

- 101
- U.O. di Ginecologia Oncologica
- U.O. di Chirurgia Pediatrica (non accesso diretto al registro AIEOP)

chiara.novi@libero.it

- Età alla diagnosi (pre o post pubertà)
 - Sintomi d'esordio
- Marcatori biologici (presenza/assenza)
 - Imaging effettuato (RM e/o TC)
 - Esame istologico estemporaneo
 - Tipo di chirurgia
- Eventuale trattamento chemioterapico

chiara.novi@libero.it

Proposte operative:

- Definizione di criteri pre-/intra-operatori (imaging + esame estemporaneo)
 - → per selezionare pazienti candidabili a chirurgia conservativa dell'ovaio (particolarmente rilevante nelle forme borderline a prognosi favorevole)

✓ Prospettive di studio:

- Follow-up oncologico e per la preservazione della fertilità
- Studio di possibili associazioni con:
- Predisposizione genetica (es. varianti BRCA)
- Profilo di metilazione nelle forme maligne rare

chiara.novi@libero.it

Analisi della Metilazione del Promotore di MLH1 nei Carcinomi del Colon-Retto Pediatrici

Implicazioni Diagnostiche e Terapeutiche

Cos'è MLH1?

gene oncosoppressore che codifica per una proteina del Mismatch Repair (MMR).

L'ipermetilazione del promotore di MLH1:

- «Spegne» l'espressione del gene MLH1
 - Inattiva il sistema MMR
- Causa instabilità dei microsatelliti (MSI)
- --- >evento epigenetico frequente nei tumori del colon sporadici con MSI-H
- È distinta dalla mutazione germinale dei geni MMR che si osserva nella sindrome di Lynch

Obiettivi dello Studio

- Determinare la frequenza della metilazione del promotore di MLH1 nei CRC pediatrici.
- Correlare lo stato di metilazione con l'instabilità microsatellitare e il profilo mutazionale.
- Identificare implicazioni diagnostiche e terapeutiche della metilazione di MLH1.

Metodologia

- Campioni: tessuti tumorali pediatrici con diagnosi di CRC.
- Tecniche di analisi:
 - Trattamento del DNA con bisolfito.
 - Sequenziamento del DNA bisolfitato.
 - Analisi mediante array di metilazione.
- Analisi bioinformatica: confronto tra campioni pediatrici e adulti e con i dati di letteratura

Selezione dei Campioni

- Fonte dei campioni: Registro AIEOP dei tumori pediatrici, database ospedalieri.
- Collaborazione con patologi per l'identificazione di casi con diagnosi confermata di CRC.
- Criteri di inclusione:
 - Diagnosi di carcinoma del colon-retto in età <18 anni.
- Disponibilità di tessuto tumorale fissato in formalina e incluso in paraffina (FFPE) o congelato.
 - Informazioni clinico-patologiche dettagliate.

Centralizzazione dei campioni in un laboratorio di riferimento per analisi molecolari standardizzate. evelina.miele@opbg.net

Risultati Attesi

- Identificazione della prevalenza della metilazione di MLH1 nei CRC pediatrici.
- Correlazione con MSI e mutazioni di BRAF.
- Possibile utilizzo della metilazione di MLH1 come biomarcatore diagnostico e prognostico.

Conclusioni

- La metilazione di MLH1 potrebbe rappresentare un evento chiave nella tumorigenesi pediatrica del CRC.
- I dati ottenuti potranno migliorare la diagnosi e la stratificazione dei pazienti.
- Questo studio contribuirà alla comprensione del ruolo dell'epigenetica nei tumori pediatrici.

Studio Clinico sui Melanomi insorti su Nevo Gigante in Età Pediatrica

AIEOP – GdL Tumori Rari

RAZIONALE:

- I melanomi su nevo melanocitico congenito gigante (NMCG) in età pediatrica sono rari ma molto aggressivi.
- Mancano protocolli standardizzati per la diagnosi e la gestione clinica.

OBIETTIVI

- Migliorare la diagnosi precoce e la sorveglianza clinica.
- Ottimizzare i percorsi terapeutici personalizzati.
- Creare un database nazionale per studi futuri.
- Definire un approccio multidisciplinare per la gestione del melanoma su NMCG.

IDENTIFICAZIONE DEI CASI:

- Registro Nazionale AIEOP per raccogliere dati sui tumori pediatrici.
- Registri Tumori Regionali e Nazionali (AIRTUM) per integrazione dati.
- Collaborazione con Centri AIEOP distribuiti in 17 regioni italiane.

BOLOGNA 14-15 APRILE 2025

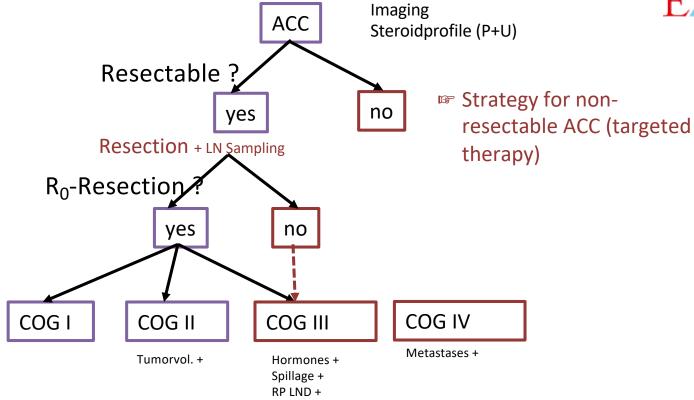
ACC Europe

Risk stratification: localized, resectable ACC



COG stage?

- Tumor volume
- Post-OP hormone levels
- Biopsy / spillage
- Retroperitoneal. LN-Mets
- Metastases



calogero.virgone@unipd.it





ACC Europe Primary and secondary aims

Primary aims

- Evaluating the best neoadjuvant regimen for unresectable (randomization?)
- Evaluating the best adjuvant regimen for resected stage III tumors
- Evaluating the best adjuvant strategy for stage II tumors (mitotane alone? surgery alone? Chemo + mitotane?)

calogero.virgone@unipd.it

BOLOGNA 14-15 APRILE 2025

ACC Europe Primary and secondary aims



Secondary aims

- Evaluating the best pathologic score/s to distinguish ACT and ACC (pediatric RA, 5-item, Wieneke)
- Evaluating which score may allow a stratification of locally advanced tumors (st. II and III) → modulate adjuvant treatment?
- Integrating (to pathology) additional techniques to allow a risk stratification
 - Methylation profile
 - Urinary steroids profile
 - Clinical risk factors (age, mutational status)
- Defining the epidemiology of ACT/ACC in Europe (p53, rate of malignant forms, age-dependant variations)



Studio Retrospettivo

Retrospective Analysis on Metastatic Pediatric Adrenocortical Carcinoma (ACC)

calogero.virgone@unipd.it



Retrospective Analysis on Metastatic Pediatric Adrenocortical Carcinoma (ACC)

Metastatic ACC a highly aggressive malignancy, with eventfree survival rates below 10%.

Approximately 15-25% with metastases at diagnosis.

Current treatment approaches, including surgery, chemotherapy, and mitotane, have limited efficacy.

To address this, we aim to conduct a retrospective, Europewide analysis to refine our understanding of metastatic ACC.



Retrospective Analysis on Metastatic Pediatric Adrenocortical Carcinoma (ACC)

Project Objectives:

- Characterize Disease Patterns: Evaluate the clinical features of oligo- versus polymetastatic ACC, including number, size, site, and resectability of metastases.
- Assess Prognostic Implications: Examine differences in disease progression, response to treatment, and event-free survival.
- Inform Treatment Approaches: Provide a foundation for designing targeted, evidence-based strategies in a future clinical pACC trial.



Retrospective Analysis on Metastatic Pediatric Adrenocortical Carcinoma (ACC)

Molecular subproject focused on metastatic ACC.

To investigate the molecular trajectory of metastatic progression, including pairs of primary tumors and metastatic sites or metastatic relapses.

Analyze both formalin-fixed paraffin-embedded (FFPE) and fresh frozen tissue samples using multi-omics approaches to gain deeper insights into tumor evolution and resistance mechanisms.

BOLOGNA 14-15 APRILE 2025

PROTOCOLLO DIAGNOSTICO E TERAPEUTICO DEL RETINOBLASTOMA INTRAOCULARE

Sponsor: A.I.E.O.P.

RTB AIEOP 018

EudraCT Number: 2019-000742-35

Codice identificativo del protocollo: RTB AIEOP 018 Responsabile del Protocollo: Dr. Raffaele Cozza

Coordinatore Comitato Scientifico AIEOP Tumori Rari: Dott.ssa Maria Debora De Pasquale

Apertura al reclutamento: 01.04.2020

Fine reclutamento: 30.03.2024

- Centri AIEOP partecipanti → n° 11

- Apertura al reclutamento \rightarrow 01.04.2020

- Chiusura del reclutamento → 31.10.2023

Ida.russo@opbg.net

AIEOP RTB 018: SCHEMA DI TRATTAMENTO CONSERVATIVO

Lateralità	IRSS	IIRC	Trattamento	Dose cumulativa chemio IV
Monolaterale#	0	A	TF	
	0	B*-C*-	IAC con Melphalan ±	
		D*	Topotecan	
			±	
			TF ± Melphalan IVT	
Bilaterale##	0	A-B-C-	Carbo/VP16/Vcr x 4	VP16 1200mg/m ²
		D-E	<u>+</u>	Carbo 2240-3360mg/m ²
			Carbo (TCT) x 2	Vcr 6mg/m ²
			±	
			TF ± Melphalan IVT	

- *Età > 6 mesi (pz di età <6 mesi seguono il trattamento delle forme bilaterali)
- #I pazienti affetti da gruppo E -IIRC sono enucleati d'emblée
- ##I pazienti affetti da gruppo A -IIRC bilateralmente sono sottoposti a trattamenti focali esclusivi
- Trattamenti focali (TF): termoterapia, crioterapia, brachiterapia
- Melphalan IVT: Melphalan intravitreale nei pazienti con seeding vitreale alla diagnosi o alla recidiva

AIEOP RTB 018: DISEGNO DELLO STUDIO

- Pazienti affetti da nuova diagnosi di **retinoblastoma intraoculare** monolaterale (gruppo A-B-C-D "IIRC") e bilaterale (gruppo A-B-C-D-E "IIRC") Stadio O-IRSS
- L'analisi statistica verrà effettuata assumendo come unità campionaria il singolo occhio e non il paziente
- END POINT principale: EFS oculare a 24 mesi pari a 60% (Evento → enucleazione, radioterapia esterna)
- END POINT secondari: tossicità sistemica e oculare a medio e lungo termine; l'outcome visivo; la validazione dell'8° edizione del TNM Staging System quale sistema di Stadiazione

AIEOP RTB 018: DISEGNO DELLO STUDIO

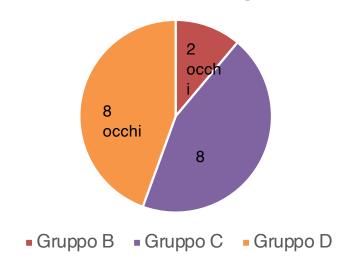
- Disegno di studio a 2 stadi secondo Simon
- Campione necessario per la significatività dello studio: 44 occhi (22- 44 pazienti)
- Al primo stadio saranno arruolati 20 occhi (10-20 pazienti); se un numero di occhi inferiore o uguale a 8 mostreranno un EFS ≥ 24 mesi (successi), lo studio verrà terminato; se un numero di occhi superiore o uguale a 9 mostreranno un EFS ≥ 24 mesi (successi), si procederà al secondo stadio
- Al secondo stadio saranno arruolati i rimanenti 24 occhi (12-24 pazienti)
- Si concluderà per un'evidenza a favore dell'efficacia del trattamento conservativo se, al termine dello studio, un numero totale di occhi maggiore di 21, avrà un EFS ≥ 24 mesi (successi)

AIEOP RTB 018: RISULTATI

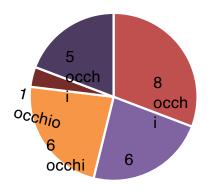
- **-44 occhi arruolati** (31 pazienti) dal <u>20.05.2020 al 2.10.2023</u>
- -18 paz RB monolaterali; 13 paz RB bilaterali (26 occhi)
- -Gruppi IIRC (44 occhi)

A: 1 occhio; B: 10 occhi; C: 14 occhi; D:14 occhi; E: 5 occhi

Rb Mono 18 pz



Rb Bilat 13 pz



- Gruppo B Gruppo C Gruppo D
- Gruppo A Gruppo E

ida.russo@opbg.net

AIEOP RTB 018: RISULTATI

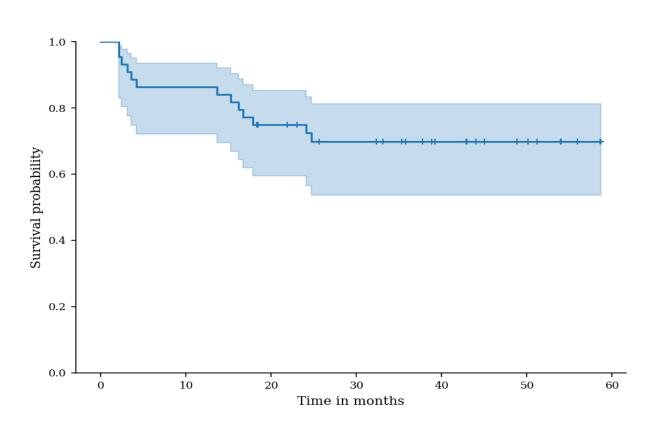
FU mediano di **27 mesi** (range 49 – 18 mesi) → **31occhi /44 (70%)** sono stati preservati

13 occhi enucleati:

- 2 occhi gruppo C –IIRC; 8 gruppo D-IIRC; 3 gruppo E-IIRC
- 7 occhi/13 RB monolaterale; 6/13 RB bilaterale
- 1 paz (RB monolaterale) : progressione di malattia SNC in corso di IAC
- 3 paz (2 paz RB monolaterale; 1 paz RB bilaterale): eventi ischemici cerebrali in corso di IAC, in assenza di sequele a lungo temine

ida.russo@opbg.net

AIEOP RTB 018: SOPRAVVIVENZA OCULARE (OS)



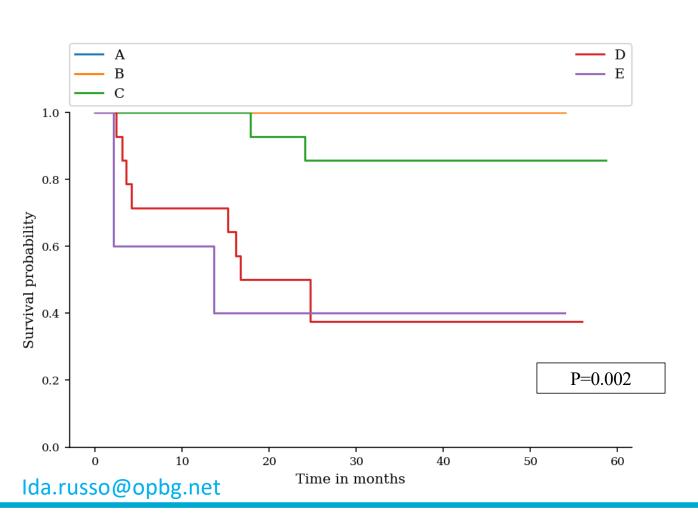
12 mesi → 86.4% (95% CI: 72.1-93.6)

24 mesi → 75.0% (95% CI: 59.4-85.3)

ida.russo@opbg.net

BOLOGNA 14-15 APRILE 2025

AIEOP RTB 018: SOPRAVVIVENZA OCULARE (OS)



12 mesi \rightarrow

Gruppo A: 100.0% (95% CI: 100.0-100.0)

Gruppo B: 100.0% (95% CI: 100.0-100.0)

Gruppo C: 100.0% (95% CI: 100.0-100.0)

Gruppo D: 71.4% (95% CI: 40.6-88.2)

Gruppo E: 60.0% (95% CI: 12.6-88.2)

24 mesi \rightarrow

Gruppo A: 100.0% (95% CI: 100.0-100.0)

Gruppo B: 100.0% (95% CI: 100.0-100.0)

Gruppo C: 92.9% (95% CI: 59.1-99.0)

Gruppo D: 50.0% (95% CI: 22.9-72.2)

Gruppo E: 40.0% (95% CI: 5.2-75.3)



GdL Tumori Rari

Gianni Bisogno
Stefano Chiaravalli
Chiara Novielli
Angela Guarina
Ida Russo
Calogero Virgone

Rita Alaggio Andrea Ferrari Evelina Miele Monica Terenziani