



Telephone conference

10/04/2025

Ore 16.00-17.00

Partecipanti: Luca Bergamaschi (LB), Giovanna Sironi (GS), Michela Casanova (MC), Valeria Ceolin (VC), Daniela Di Carlo (DdC), Virginia Livellara (VLi), Federico Mercolini (FM), Maria Giuseppina Cefalo (MGC), Enrico Opocher (EO), Loredana Amoruso (LA), Maria Grazia Pionelli (MGP), Alberto Romano (ARo), Antonio Ruggiero (ARu).

Assenti: Veronica Leoni (VL), Carmelo Rizzari (CR), Luca Lo Nigro (LLN), Nicoletta Bertorello (NB), Silvia Sorbara (SS).

MC inizia la riunione e fornisce aggiornamenti sul meeting ITCC a New Castle.

1) Tabella riassuntiva AIEOP studi tumori solidi

LB chiede conferma della chiusura dell'arruolamento di alcuni studi:

- ARo conferma che lo studio su Abemaciclib nei tumori solidi ha chiuso arruolamento;
- MGC afferma che Keynote 051 (Pembrolizumab nei pazienti affetti da melanoma) è ancora in fase di arruolamento (sebbene arruoli poco ed in totale siano stati arruolati 2 pazienti presso OPBG);
- MGC conferma che lo studio su Ponatinib arruola solo pazienti con LMC.

2) Aggiornamento Progetto Off Label

VC ha ricevuto le schede da tutti i centri ed ha elaborato i dati e condiviso i risultati con LB, FM, DdC. Al momento è in fase di preparazione un abstract per il congresso AIEOP 2025 sebbene i limiti di parole non permetteranno di inserire tutti i risultati ottenuti.

VC fornisce una visione d'insieme dei risultati più rilevanti dello studio:

- 19 centri partecipanti, 565 prescrizioni raccolte di cui 77% riguardano farmaci off-label e 23% compassionevoli;
- la media di prescrizioni/anno è in aumento nel tempo (questo potrebbe essere legato ad una minore attenzione alle prescrizioni fatte in passato; tuttavia questo dato è in linea con la letteratura scientifica disponibile)
- vi è una maggiore percentuale di prescrizioni nei centri del Nord;
- 37% delle prescrizioni riguardano patologie ematologiche, 43% riguardano tumori solidi, 20% riguardano tumori cerebrali (la patologia per cui si eseguono più prescrizioni sono i gliomi, seguiti dalla LLA);
- la maggior parte delle prescrizioni riguarda patologie metastatiche e/o recidivate mentre nel 19% riguardavano farmaci usati in prima linea;
- la mediana della durata del trattamento è 133 giorni;
- nella maggior parte dei casi le prescrizioni off label sono state fatte per assenza di trial aperti;
- nella maggior parte dei casi le prescrizioni erano off label per età del paziente;

- il tempo di approvazione medio è risultato di 13 giorni.

VC espone dei dubbi su come presentare alcuni dati raccolti:

-alcuni farmaci prescritti non sono propriamente farmaci bersaglio per cui andrebbero eliminati;

MC, LB e MGC suggeriscono di eliminare solo la Trabectidina e di lasciare tutti gli altri che comunque possono essere considerati “target therapy” in quanto personalizzati per il paziente, indipendentemente dalla natura della molecola;

- in futuro si potrebbe ampliare la discussione del lavoro aggiungendo informazioni su come sia cambiata nel tempo la modalità di prescrizione dei vari farmaci e se le prescrizioni off-label sono state effettuate dopo l'uso compassionevole;

- associazione farmaco-alterazione molecolare è disponibile solo per alcune prescrizioni; MGC sottolinea che la gran parte delle associazioni farmaco-alterazione molecolare è deducibile e non è utile richiederlo ai vari centri per non rischiare di incappare in problemi legati alla privacy/approvazione da parte del comitato etico;

- si discute su come riportare il motivo della conclusione del trattamento e si stabilisce di riportare le possibilità: progressione di malattia – completamento del programma terapeutico

- si potrebbe distinguere il tempo di approvazione per gli off label rispetto al tempo di approvazione per i compassionevoli.

VG, LB, FM, DdC si riuniranno per l'ultima stesura dell'abstract che poi condivideranno con il resto del gruppo.

3) Aggiornamento Survey sull'uso del Sodio Tiosolfato

EO presenta i dati ottenuti dalla Survey:

-21 centri hanno risposto alla Survey;

-38% dei medici/centri ha prescritto almeno 1 volta STS, 61,9% dei medici/centri non ha mai prescritto STS;

-6 medici/centri hanno trattato 1 solo paziente, 2 medici/centri hanno trattato 2 pazienti, 1 medico/centro ha trattato 3 pazienti;

-i pazienti per cui è stato prescritto STS sono 13 che erano prevalentemente affetti da epatoblastoma, 2 erano affetti da tumori a cellule germinali, 1 era affetto da carcinoma rinofaringeo;

- STS è stato sempre usato nei programmi terapeutici che prevedevano cisplatino;

- nessuno ha utilizzato STS nei pazienti con malattia metastatica;

- 50% dei casi STS è stato utilizzato secondo le indicazioni contenute in SIOPEL6, 50% è stato usato come da indicazioni del Pedmarqsi

-la maggior parte dei medici/centri ha usato STS a 6 ore dalla conclusione del cisplatino, 1 caso è stato usato 24 ore dopo la conclusione del cisplatino;

-50% dei casi è stato infuso in 15 minuti, in alcuni casi è stato prolungata l'infusione per comparsa di nausea mentre in altri casi era stato scelto un intervallo di infusione più lungo;

- nel 55,6% dei casi sono stati osservati eventi avversi transitori (quelli già noti).

Gran parte degli intervistati considererebbe STS un farmaco utile nella prevenzione del danno uditorio anche in indicazioni diverse dall'epatoblastoma.

EO comunica che al momento l'azienda ha reso il farmaco accessibile ad uso compassionevole.

Conclusioni:

Da programmare prossimo incontro del GdL e la prossima agenda.