



Telephone conference

18/12/2025

Ore 15.30-16.30

Partecipanti: Michela Casanova (MC), Luca Bergamaschi (LB), Giovanna Sironi (GS), Federico Mercolini (FM), Maria Giuseppina Cefalo (MGC), Enrico Opocher (EO), Loredana Amoroso (LA), Maria Grazia Pionelli (MGP), Luca Lo Nigro (LLN), Nicoletta Bertorello (NB), Silvia Sorbara (SS), Virginia Livellara (VLI), Antonio Ruggiero (ARu),

Assenti: Veronica Leoni (VL), Valeria Ceolin (VC), Alberto Romano (ARo), Daniela Di Carlo (DdC), Carmelo Rizzari (CR)

1) Aggiornamento protocollo SACHA/Off-label/IncipiT:

- **SACHA (Nicoletta):**

Nicoletta presenta slides per aggiornare sulla situazione del protocollo SACHA: in Francia hanno coinvolto tutti i centri, buon arruolamento nazionale fino a novembre u.s.

Pablo Berlanga ha presentato i risultati di SACHA durante congresso annuale ITCC a novembre: la collezione dei dati Real-World porta a nuove segnalazioni di sicurezza ed efficacia → nuovi farmaci, riportata esperienza con chemio-immuno: dinutuximab beta + chemio (topotecan/ciclofosfamide, temozolamide/irinotecan): 13 pazienti pubblicati nel 2025 con ottenimento di 38% OR rate (5/18: 4 PR, 1 CR).

- Tovorafenib: studio Firefly, con approvazione del farmaco nel R/R LGG.

Tovorafenib è una delle molecole su cui SACHA internazionale si sta concentrando al momento attuale.

Aggiornamento SACHA : 67 centri inclusi (Francia 32 + extraFR 35).

In Italia 3 centri attivi: Torino (18 pts arruolati), Bologna dal 15 ottobre 2025, Genova dal 9 dicembre 2025.

- Farmaci su cui vogliono focalizzarsi:

- Cabozantinib
- Regorafenib
- Tovorafenib: attualmente nel programma compassionevole in Francia
- Lorlatinib
- Nirogacestat

- **IncipiT (Michela):** consorzio che coinvolge OPBG/Trieste (quest'ultimo per farmacista) per raccolta dati di uso compassionevole/off-label su Blinatumumab → fatta videocall

(Valeria, Nicoletta, Michela, OPBG, Trieste) ma in fase di valutazione anche con Amgen, sponsor Blina).

- Commento Nicoletta: dalla survey condotta quest'anno emerso Blina come farmaco su cui fare potenziale approfondimento → portare in discussione in ambito AIEOP. Seguirà aggiornamento su possibile evoluzione.
- **Off-label/compassionevoli (Valeria):** paper quasi terminato.
 - Proposta 1: stessa survey nei centri ITCC – es. retrospettivo di SACHA? → secondo Berlanga non fattibile perché in Europa non ci risponderebbero prontamente.
 - Proposta 2: raccogliere info più dettagliate su 1-2 farmaci? → Scaricare database italiano SACHA per vedere se ci sono farmaci utilizzati da programmi compassionevoli aperti.

2) CATCH Europe: **Childhood cancer Access to Trials and Healthcare across Europe**

Programma sponsorizzato da SIOP Europe per comprendere le barriere logistiche e amministrative che impediscono l'accesso transfrontaliero alle cure, alle sperimentazioni cliniche e all'innovazione. Lo scopo è quello di formulare raccomandazioni per migliorare il quadro normativo e la sua attuazione:

- Regolamenti n. 883/2004 e 987/2009 sul coordinamento dei sistemi di sicurezza sociale
- Direttiva 2011/24/UE sull'applicazione dei diritti dei pazienti nell'assistenza sanitaria transfrontaliera (S2)

E' stata pertanto lanciata survey tra i centri ITCC, ancora aperta, in cui richiedono: a) quanti pazienti riferiti all'esterno/quanti entrati; b) difficoltà riscontrate/sostegno economico S2.

- 43/68 centri hanno risposto (63%); 15/18 nazioni rappresentate nelle risposte: Austria (1), Belgio (1), Repubblica Ceca (2), Danimarca (1), Finlandia (0), Francia (8), Germania (6), Ungheria (1), Israele (0), Irlanda (1), Italia (6), Paesi Bassi (1), Polonia (0), Spagna (4), Norvegia (1), Svezia (2), Svizzera (2), Regno Unito (6).

In Italia la maggior parte delle richieste in ingresso è per CAR-T presso OPBG (Francia e Italia sono i paesi che hanno ricevuto il maggior numero di richieste).

Punti emersi:

- Come i pazienti si spostano? S2 approvato dalle regioni di provenienza per la maggior parte dei pazienti
- Eterogeneità delle provenienze in ITCC
- Varie barriere (linguistiche/economiche..) per cui SIOP vuole raccogliere informazioni per studiare possibili soluzioni, aiuti.
- Tuttavia diversi centri che non hanno ancora risposto.

3) LIGHTBEAM: **protocollo multibraccio**

- Braccio aperto per S. Ewing anti ROR-1: 60 pts in lista d'attesa (lunga waiting list, 1 paziente arruolato Milano, e 1 presso OPBG)

- Prossimo braccio in apertura Patritumab-deruxtecan anti HER-3: pazienti arruolabili sono quelli con RMS alveolare/embrionale ed epatoblastoma: recettore trasversale a varie patologia, nuovi target in pediatria. Risposta interessante in studi preclinici.
 - AntiHER3: anticorpo coniugato anti topoisomerasi I. Studio prevede 2 coorti: <12 anni; 12-18 anni (già per fase 2 con dose dell'adulto).
 - Effetto collaterale più allarmante: polmonite interstiziale
 - Non necessaria la dimostrazione di iperespressione di HER3 per arruolamento
 - Prossimo braccio anti B7H3. All comers in dose escalation e poi varie coorti per tumori solidi (OS, RMS, Wilms, NBL).

-

4) Aggiornamento Ototossicità (Enrico).

- E' stato fatto un Webinar AIEOP sul tema organizzato da ARCO.
- Punto sul lavoro in corso:
 - Sottogruppi di lavoro/partecipanti per patologie: a) SNC; b) OS (Federico/Maria Grazia); c) epatoblastoma (Enrico/Michela); d) tumori germinali (Terenziani); e) NBL (De Leonardis).
- PHITT Consensus: permissivo a utilizzo del STS negli alti rischi non metastatici.
- Anche nei protocolli del medulloblastoma si sta cercando di dare indicazioni chiare e raccogliere dati.
- Proposta: inserire discorso ototossicità in ambito GdL terapia di supporto? → valutare contatto con Cesaro coordinatore del GdL
- Altro lavoro in corso: da parte di Norgine approccio con ORL e audiometristi.
- Altre proposte: 1) coinvolgere gruppo TREP/Expert? → si; 2) Questionario per lungosopravvivenenti?
- Prossimo incontro su tema ototossicità: 22 gennaio 2026 a Bologna

Prossimi appuntamenti:

- Giornate AIEOP 13-14/4/26
- Prossima riunione GdL: teleconfernce da fissare (Temi: ESMART, eventuali segnalazioni nuovi protocolli..)