Telephone conference
10/09/2026
Ore 15.30-17.00

Partecipanti: Michela Casanova (MC), Luca Bergamaschi (LB), Federico Mercolini (FM), Maria Giuseppina Cefalo (MGC), Loredana Amoroso (LA), Maria Grazia Pionelli (MGP), Luca Lo Nigro (LLN), Silvia Sorbara (SS), Virginia Livellara (VLi), Antonio Ruggiero (ARu), Veronica Leoni (VL), Alberto Romano (ARo)

Assenti: Valeria Ceolin (VC), Daniela Di Carlo (DdC), Carmelo Rizzari (CR), Enrico Opocher (EO), Nicoletta Bertorello (NB).

Composizione del gruppo: componenti e leadership

Elena Palmisani dell'Istituto Gaslini ha espresso il desiderio di entrare a far parte del GdL Nuovi Farmaci Allargato.
A seguito della discussione ristretta tra i componenti del GdL e dell'esame, in sede di Consiglio Direttivo, dei dati della survey sui gruppi di lavoro, sono emersi 2 messaggi principali: garantire la massima inclusività e non mantenere lo stesso coordinatore per tempi indefiniti. Si attende in merito quanto verrà discusso in assemblea durante il prossimo congresso AIEOP a Lecce.
Si è discussa inoltre la proposta anche di implementare alcuni incontri in presenza in futuro, e se possibile un incontro a Roma con AIFA volto a risolvere le problematiche riguardanti gli studi in collaborazione con le case farmaceutiche.

Aggiornamento SACHA/Off label

Il lavoro di VC è stato pubblicato. MC propone di avviare una riflessione per valutare l'opportunità di individuare una specifica coorte di pazienti o un singolo farmaco su cui condurre un ulteriore approfondimento.

A breve verrà condiviso il link del lavoro, così da poter ragionare insieme sui contenuti e valutare un eventuale coinvolgimento di altri GdL per collaborazioni future.

Per quanto riguarda lo studio SACHA, si segnala l'avvenuta attivazione di tutti i centri italiani precedentemente individuati quali partecipanti.

Revisione tabella protocolli disponibili tumori solidi: LB

LB ha illustrato la tabella riassuntiva dei trial sui tumori solidi, predisposta nella primavera del 2026, al fine di fare il punto sugli studi attualmente chiusi, su quelli ancora attivi e su quelli di nuova attivazione.

- Ponatinib: il braccio dedicato ai tumori solidi è stato chiuso. MCG riferisce che il braccio ematologico (destinato a LMC recidivate, refrattarie o intolleranti a una precedente linea di trattamento) è ancora attivo, ma in fase di prossima chiusura. Di conseguenza, lo studio verrà trasferito nella tabella relativa agli studi ematologici.
- ESMART: i bracci attualmente attivi e aperti all'arruolamento sono i seguenti: Braccio P capmatinib + everolimus, Braccio Q: peposertib + avelumab + temozolomide, Braccio R: capivasertib + vinorelbina
- Entrectinib: studio chiuso all'arruolamento (quindi da eliminare dalla tabella)
- Naxitanab: studio chiuso all'arruolamento (quindi da eliminare dalla tabella)
- Alectinib: studio chiuso all'arruolamento (quindi da eliminare dalla tabella)
- Crisp (Crizotinib): studio ancora attivo. L'attenzione al momento è sulla tossicità oculare con frequenti valutazioni oculistiche (gli enti regolatori hanno chiesto di avere informazioni sulle tossicità oculari nei pazienti pediatrici)
- Repotrectinib: arruolamento chiuso
- Brigatinib: studio ancora aperto
- Denosumab: non come single agent, ma nell'ambito dell'OS metastatico, attualmente aperto e continua ad arruolare
- Abemaciclib (in combinazione): studio chiuso all'arruolamento
- Cabozantinib: chiuso all'arruolamento per tossicità e non raggiungimento degli endpoints previsti. Cabozantinib sarà comunque parte del protocollo proposto da FOSTER come terapia del mantenimento
- Pembrolizumab: reclutamento ancora aperto per i melanomi (chiuso per altri tumori solidi)
- Zilovertamab vedotin (LIGHTBEAM 01A): aperto per pazienti con neuroblastoma (solo USA) e sarcoma di Ewing
- Patritumab deruxtecan (LIGHTBEAM 01C): per pazienti con epatoblastoma e rabdomiosarcoma
- Ifinatamab deruxtecan (LIGHTBEAM 01D): dose escalation all comers e poi coorti per rabdomiosarcoma, osteosarcoma, tumore di Wilms e neuroblastoma.
- Belzutifan (LIGHTBEAM 01E): paraganglioma, GIST WT, feocromocitoma, malattie associate alla sindrome di Von Hippel Lindau

Nuovi protocolli

- Trial della Nuvalent con neladalkib, NVL-655, (inibitore di ALK di nuova generazione sviluppato per superare i meccanismi di resistenza). Il protocollo è attualmente attivo presso l'Oncologia Medica dell'Istituto Nazionale dei Tumori di Milano ma prevede anche una coorte per pazienti minorenni (12-18 anni).
- Trial della Nuvalent con Zidesantinib (NVL-520 – inibitore di ROS1 di nuova generazione) anche in questo studio dovrebbe essere aperta a breve la corte per pazienti minorenni (> 12 anni).
- Treosulfano (+ Melfalan): consolidamento negli Ewing ad alto rischio. Studio attivo.

- INBRX-109: Ewing recidivati e altri tumori solidi (coinvolti TYA e adulti), attualmente aperto
- Chinelect (radionuclide): tumori somatostatina positivi (citato ma non in tabella perchè non ancora attivo).

MC aggiunge:
Gli studi vengono aggiunti in tabella dal momento dell'attivazione e non prima. Due studi in corso di prossima attivazione sono:

- Osimertinib per tumori con mutazione di EGFR (focalizzato prevalentemente sui tumori cerebrali).
- Trial Roche con B7-H3 ADC (coniugato con pelitecan): Protocollo destinato ai pazienti affetti da Sarcoma di Ewing.
- Studio clinico per il trattamento dei tumori desmoidi con varegacestat, inibitore della gamma-secretasi, condotto nell'ambito della piattaforma OCTOPUS in collaborazione con l'azienda farmaceutica Immunome. In Italia è prevista l'attivazione di tre centri della rete ITCC: Milano, Padova e l'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma.

Prossimo incontro:
LB farà circolare la tabella con i trials solidi al gruppo per eventuali ulteriori modifiche

MC chiederà aggiornamento Sodio Tiosolfato ad EO

L'incontro di ottobre sarà dedicato all'aggiornamento della tabella degli studi ematologici

Prossimi congressi e appuntamenti scientifici

- SIOP 2026
- Congresso Nazionale AIEOP a Lecce: 12–14 ottobre 2026
- Meeting ACCELERATE B7H3 29-30 ottobre 2026