



Tumori, glioma pediatrico di basso grado: via libera in Europa a prima terapia mirata

Descrizione

(Adnkronos) – La Commissione europea (Ce) ha autorizzato la commercializzazione condizionata di tovorafenib come monoterapia per il trattamento dei pazienti di età pari o superiore a 6 mesi con glioma pediatrico di basso grado che presentano una fusione o un riarrangiamento del gene Braf o una mutazione Braf-V600, in progressione di malattia dopo una o più terapie sistemiche precedenti. Lo annuncia Ipsen, in una nota, precisando che si tratta della "prima terapia mirata" per questa patologia e che la decisione della Ce si riferisce ai 27 Stati membri della Ue, oltre a Islanda, Liechtenstein e Norvegia. Ogni anno in Ue vengono diagnosticati più di 800 nuovi casi di glioma pediatrico di basso grado (pLgg) con alterazione di Braf. Questo tumore cerebrale, nonostante sia classificato di basso grado (a lenta progressione), comporta un carico significativo e permanente che accompagna la persona per tutta la vita, causando spesso importanti compromissioni fisiche e neurologiche, tra cui perdita della vista, difficoltà di linguaggio e disfunzioni motorie, che possono incidere in modo significativo sull'istruzione, l'autonomia e la qualità di vita a lungo termine del bambino. Finora, molti bambini con pLgg hanno dovuto sottoporsi a interventi chirurgici invasivi, a più cicli di chemioterapia e a radioterapia, con conseguenti complicazioni della salute.

Per i piccoli che ricevono la diagnosi di glioma di basso grado, il percorso è spesso lungo e difficile, con opzioni terapeutiche limitate – afferma Sandra Silvestri, Executive Vice President and Chief Medical Officer, Ipsen – Questa approvazione rappresenta un passo avanti significativo per questi bambini e per le loro famiglie, rafforzando al contempo il nostro impegno a rispondere a elevati bisogni clinici non soddisfatti. Ora il nostro obiettivo è garantire che i bambini eleggibili in tutta Europa possano accedere a questa terapia il più rapidamente possibile.

L'approvazione della Ce si basa sui dati dello studio di fase 2 Firefly-1 che ha valutato tovorafenib in 137 bambini e giovani adulti con pLgg recidivato o refrattario con alterazioni di Braf che avevano ricevuto almeno una precedente terapia sistemica. Nel dettaglio, lo studio ha dimostrato una risposta

tumorale clinicamente significativa con un tasso di risposta globale del 71% secondo i criteri Rano-Hgg (Response Assessment in Neuro-Oncology criteria for High-Grade Gliomas) e del 53% secondo i criteri Raono-Lgg (Response Assessment in Paediatric Neuro-Oncology for Low-Grade Glioma), con un tasso di beneficio clinico del 77% secondo i criteri Rano-Hgg e del 58% secondo i criteri Rapno-Lgg. Le risposte riferisce la nota sono state rapide e durature: sulla base dei criteri Rapno-Lgg, tra coloro che hanno risposto, il tempo mediano alla risposta è stato di 5,4 mesi con una durata mediana della risposta di 18 mesi.

Sul profilo di sicurezza, tovorafenib è stato generalmente ben tollerato, con eventi avversi legati al trattamento (Traes) prevalentemente di grado 1 o 2 e un tasso di interruzione basso (9,5% dei pazienti ha interrotto il trattamento a causa di eventi ritenuti dallo sperimentatore correlati a tovorafenib). I Traes più comuni comprendevano variazione del colore dei capelli, creatinfosfochinasi ematica alta, fatigue, anemia, vomito, ipofosfemia, cefalea, eruzione cutanea maculopapulare, febbre, ritardo della crescita, secchezza cutanea. Il regime posologico semplice, con la somministrazione orale una volta alla settimana, con o senza cibo, in formulazione liquida o in compresse, ha ridotto al minimo i disagi nella routine quotidiana.

Le famiglie con piccoli colpiti dal glioma di basso grado spesso devono affrontare anni di incertezza, difficili decisioni terapeutiche e il timore delle conseguenze a lungo termine, evidenzia François Doz, professore di Pediatria alla Paris Descartes University, vicedirettore di Clinical Research, Innovation and Teaching al Siredo Oncology Centre of the Curie Institute (Assistenza, innovazione e ricerca nel campo dei tumori dell'infanzia, dell'adolescenza e dei giovani adulti) e direttore didattico dell'Hospital Ensemble of the Institut Curie.

Il regolamento dell'UE sulla valutazione delle tecnologie sanitarie (Health Technology Assessment - Regulation), la cui attuazione è iniziata progressivamente a partire da gennaio 2025 ha introdotto un nuovo processo di valutazione clinica congiunta (Joint Clinical Assessment - Jca) volta a semplificare e armonizzare la revisione comparativa delle evidenze cliniche negli Stati membri dell'UE. Tovorafenib è il primo farmaco a essere sottoposto a una valutazione Jca.

?

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Aprile 23, 2026

Autore

redazione

default watermark