



Policlinico Umberto I

■ NUOVO GENE IMPLICATO NEL RABDOMIOSARCOMA

scoperto anche grazie al sostegno di “Io, domani...” alla ricerca

1

I ricercatori che lavorano presso il reparto di Oncologia Pediatrica del Policlinico Umberto I, grazie anche al prezioso sostegno di “Io, domani...”, hanno scoperto un “grilletto” molecolare di un tumore tra i meno curabili nei bambini, il rhabdomyosarcoma. Hanno scoperto che ripristinando livelli normali dell’attività di un gene, la crescita del tumore si ferma.

Resa nota sulla rivista *Oncotarget*, la scoperta potrebbe portare allo sviluppo di nuove terapie.

I tumori infantili sono una patologia rara (1.500 nuovi casi circa per anno in Italia) ma altamente letale, costituendo la più frequente causa di morte per malattia nei primi 14 anni di vita. I progressi terapeutici registrati negli ultimi 30 anni sono stati assai significativi ma i miglioramenti non sono stati omogenei e alcuni tumori, quali neuroblastoma e rhabdomyosarcoma in fase metastatica, ancora oggi causano il decesso di più della metà dei pazienti, indipendentemente dall’intensità e dalla durata dei trattamenti terapeutici. In tali tumori è quindi particolarmente urgente la necessità di individuare nuovi bersagli

terapeutici che consentano di disegnare protocolli terapeutici più efficaci e - se possibile - meno tossici. Il rhabdomyosarcoma rappresenta il 5% circa di tutte le neoplasie maligne infantili ed è il sarcoma dei tessuti molli più frequente in età pediatrica.

Colpisce soprattutto bambini da 5 anni, ma anche gli adolescenti e più raramente gli adulti ne possono essere affetti. Le cellule del rhabdomyosarcoma hanno caratteristiche che ricordano le cellule muscolari dell’embrione.

Il rhabdomyosarcoma può svilupparsi in qualsiasi parte del corpo, anche dove non sono presenti i muscoli striati, ma generalmente è più frequente a livello della testa

e del collo (40%), dell’apparato urogenitale (20%), degli arti (20%) e del tronco (10%).

Le due principali varianti sono il rhabdomyosarcoma embrionale (80% dei casi) e il rhabdomyosarcoma alveolare (15-20% dei casi), che generalmente è caratterizzato da alterazioni specifiche di alcuni cromosomi.

La diagnosi di rhabdomyosarcoma si basa sulla presenza di specifici marcatori su preparati istologici di biopsie tumorali.

La terapia consiste nell’asportazione chirurgica dell’intera massa tumorale (ove possibile), associata alla chemioterapia e, spesso, alla radioterapia. La sopravvivenza dipende dal tipo di tumore,





2

dalle sue dimensioni, dalla sede di insorgenza, dall'invasione di altri organi e tutte queste caratteristiche influiscono sul tipo di trattamento e sulle possibilità di guarigione.

Il rhabdomyosarcoma alveolare in particolare è un tumore altamente aggressivo e ha, generalmente, una prognosi sfavorevole per la sua capacità di metastatizzare precocemente e di essere resistente alle terapie convenzionali. «È di fondamentale importanza trovare nuove ed efficienti terapie mirate che possano migliorare le possibilità di guarigione dei pazienti con rhabdomyosarcoma e per questo è indispensabile la ricerca di base. Negli ultimi 4 anni il nostro gruppo, grazie anche al supporto dell'Associazione per la lotta contro i tumori infantili "Io, domani...", si è focalizzato sull'analisi di particolari caratteristiche biologiche del rhabdomyosarcoma al fine di identificare nuovi possibili bersagli terapeutici», spiega il Professor Carlo Dominici, Responsabile del Laboratorio di Diagnostica e Terapie Oncologiche Mirate in Pediatria presso il Dipartimento di Pediatria e Neuropsichiatria Infantile dell'Università "Sapienza" di Roma. Gli studi hanno incluso pazienti affetti da rhabdomyosarcoma diagnosticati e trattati presso la Divisione di Oncologia Pediatrica del Policlinico Umberto I di Roma, diretta dalla Professoressa Anna Clerico. Un importante tassello molecolare nella trasformazione e crescita del rhabdomyosarcoma è proprio quello del lavoro pubblicato sulla rivista internazionale Oncotarget. Il gruppo di ricerca del Professor Dominici ha dimostrato per la prima volta che l'espressione (l'attività) del gene

'DNMT3B' - un enzima che, attraverso particolari modificazioni del DNA, spegne diversi altri geni - risulta significativamente aumentata nelle biopsie dei pazienti con rhabdomyosarcoma rispetto al muscolo striato normale, il che conferma come l'attività 'esagerata' di DNMT3B sia associata a questo tipo di tumore pediatrico. Grazie a tecniche di biologia molecolare in cellule tumorali in provetta, i ricercatori hanno dimostrato che disattivando il gene DNMT3B si può ridurre significativamente la crescita delle cellule tumorali, la loro motilità e la loro capacità di formare metastasi. Sorprendentemente, il ripristino di livelli normali della proteina DNMT3B porta alla riattivazione dei meccanismi molecolari alla base della normale formazione di tessuto muscolare, con cellule tumorali che riacquisiscono un aspetto allungato, caratteristico delle cellule muscolari sane. «Le nostre osservazioni - sottolinea la Dottoressa Francesca Meggiorni, la Ricercatrice supportata con un assegno di ricerca finanziato dall'Associazione per la lotta contro i tumori infantili "Io, domani..." che ha condotto la ricerca - contribuiscono a migliorare la comprensione degli inter-

Io, domani...

Notiziario Trimestrale dell'Associazione per la lotta contro i Tumori Infantili

Via G. Giolitti, 255
00185 Roma

Direttore Responsabile
Daniela De Robert

Coordinamento editoriale
Paola Mariano
via Giolitti, 255
00185 ROMA
tel/fax 06 44360073

Numero Verde
800 66 18 14

Grafica
Maria Livia Pinchera

Stampa
Tipografia Europrint - ROMA

c/c postale 73753006

c/c bancario
Banca Prossima SpA
via Parigi 13/15 - 00185 Roma
IBAN
IT4210335901600100000112700

e-mail alti@iodomani.it

www.iodomani.it

ruttori molecolari del rhabdomyosarcoma e aprono interessanti prospettive per l'impiego clinico di protocolli terapeutici di differenziazione cellulare, mirati a ripristinare il normale funzionamento dell'enzima DNMT3B e potenzialmente in grado di contrastare più efficacemente questo tipo di tumore infantile».

■ Tumori

LA SOPRAVVIVENZA AUMENTA MA SOLO IN 6 REGIONI - NETWORK I PAZIENTI - IL SUD RESTA INDI

In 6 regioni italiane i pazienti colpiti dal cancro guariscono di più rispetto al resto d'Italia.

Sono le regioni che hanno realizzato pienamente le Reti oncologiche. Si tratta delle 'virtuose' Toscana, Piemonte, Veneto, Lombardia, Trentino e Umbria. Al Sud, invece, le Reti sono ancora in pratica inesistenti. A fare il punto un convegno nazionale a

Roma organizzato da 'Periplo', associazione che riunisce i maggiori oncologi italiani.

In particolare, in Toscana la sopravvivenza a cinque anni raggiunge il 56% fra gli uomini e il 65% fra le donne, in Veneto il 55% (uomini) e il 64% (donne) e in Piemonte il 53% (uomini) e il 63% (donne).

(segue a pagina 4)



Tumori pediatrici

■ LE ASSOCIAZIONI SVOLGONO UN LAVORO CHE VALE 9 MILIONI DI EURO

Un'indagine Fiagop sul ruolo delle onlus nell'oncologia pediatrica

Novemila ore di volontariato, 81 mila pernottamenti garantiti e circa nove milioni di euro di spesa complessiva sostenuta: sono questi i numeri che ogni anno producono coloro che sono impegnati (gratuitamente) a favore delle associazioni di aiuto ai piccoli pazienti ammalati di tumore. Lo rivela l'indagine "Oncoematologia Pediatrica - L'impegno delle Associazioni in ambito socio-assistenziale e scientifico", realizzata dalla Federazione Italiana Associazioni Genitori Oncoematologia Pediatrica Onlus (FIAGOP) e presentata in occasione dell'apertura dell'8° Convegno Europeo di Childhood Cancer International, dal titolo "Connecting Europe" (a Roma dal 12 al 14 maggio 2017).



3

L'attività delle associazioni si sviluppa in due ambiti, quello socio-assistenziale e quello dei finanziamenti alla ricerca. Il primo consiste nel promuovere progetti per il miglioramento della qualità di vita del bambino o dell'adolescente malato; nell'accompagnarlo, insieme alla

sua famiglia, nel lungo e difficile percorso di malattia; inoltre nel fornire accoglienza e ospitalità prolungata e gratuita alle famiglie costrette a lasciare la propria casa e città per lunghi periodi. Il secondo va dal supporto ai centri di cura fino ad arrivare al sostegno a favore della ricerca scientifica con lo scopo di scoprire nuove e più efficaci terapie.

Per definire meglio l'impegno delle onlus, Fiagop ha commissionato al Laboratorio di Ricerca ARCO (Action Research for Co-development) di Firenze, un'indagine per comprendere lo stato di salute delle associazioni di genitori italiani che fanno parte della Federazione. La ricerca ha coinvolto 74 associazioni, per analizzare lo stato di salute, i punti di forza e le difficoltà che le onlus devono affrontare. L'indagine ha anche quantificato dal punto di vista economico l'impegno sostenuto dai soci delle diverse onlus in un anno (il 2015).

(segue a pagina 4)

CON LE RETI ONCOLOGICHE, ORK ONCOLOGICI PER GUIDARE ETRO



UN LAVORO DA 9 MILIONI DI EURO

(continua da pagina 3)

È emerso che, nonostante la crisi, le associazioni sono in grado di svolgere un ruolo chiave. L'aiuto che offrono alle famiglie con figli colpiti da cancro va dal sostegno economico, all'organizzazione di attività scolastiche e ricreative come escursioni, laboratori o eventi sportivi. I volontari, genitori, guariti e soprattutto persone che si sono interessate all'operato delle associazioni in maniera del tutto spontanea hanno svolto un lavoro enorme.

4

Nell'anno in esame ogni associazione ha potuto contare, in media, sul supporto di circa 80 volontari per un totale di 9 mila ore di volontariato per associazione. Il 55% delle associazioni svolge direttamente attività di accoglienza del bambino e della sua famiglia. Sempre nello stesso anno la capacità ricettiva complessiva è stata estremamente variegata con strutture che hanno dato ospitalità

a una famiglia ed altre che accolto anche 150 persone per notte, per un totale di 81.744 pernottamenti in un anno. Per quanto riguarda i costi relativi alla gestione e mantenimento delle strutture destinate all'ospitalità, spese per il personale, servizi a disposizione del malato e dei famigliari, sostegno psicologico, l'impegno economico è stato di 4.443.655,23 euro di cui 738.642 euro sono i costi sostenuti dalle associazioni per le famiglie (di tipo sanitario, scolastico, non solo per il piccolo paziente ma anche per i fratelli e in alcuni casi anche le spese funebri). Sul fronte scientifico, ben il 60% delle associazioni aderenti a Fiagop nel 2015 ha sostenuto le attività di reparto in termini di supporto alle figure professionali e progetti di ricerca scientifica in tre ambiti: tumori solidi e malattie ematologiche e immunologiche; leucemie, linfomi e simili; stili di vita, in particolare



alimentazione e sport. L'impegno profuso è stato di oltre 4.500.000 euro. Complessivamente quindi, nel 2015, l'impatto economico di tutte le attività socio-assistenziali corrisponde a 8.943.655,23 euro. Il rapporto Fiagop conferma il ruolo fondamentale che le Associazioni dei genitori, nel corso degli anni sono andate a rivestire, ruolo riconosciuto anche dal mondo medico e scientifico. antitumorali per i bambini.

LA SOPRAVVIVENZA AUMENTA CON LE RETI ONCOLOGICHE

(continua da pagina 3)

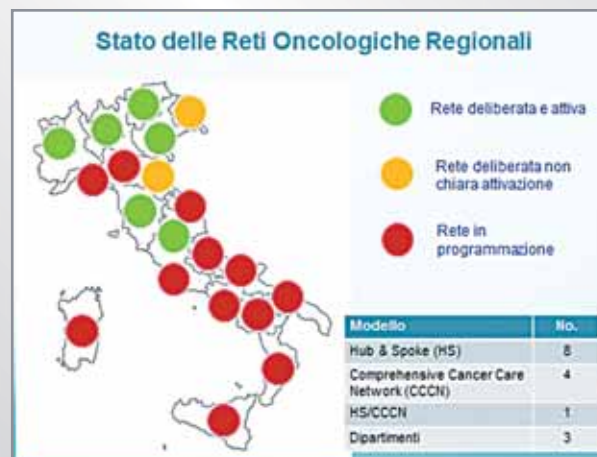
Già da 2 anni, ha spiegato il vice presidente Periplo Gianni Amunni, "il ministero della Salute ha emanato delle linee guida per la realizzazione delle Reti oncologiche regionali e c'è l'obbligo delle Regioni di recepire tale raccomandazione. Ad oggi, però, a parte le Regioni già attive, in molte altre mancano ancora le delibere di recepimento". In pratica, chiarisce, "la Regione individua la Rete come modello oncologico organizzativo e ne nomina

direzione e coordinamento. A questo punto, i professionisti degli ospedali

sono chiamati ad operare appunto in rete ed il paziente, entrando in una

struttura, deve essere guidato nel percorso da seguire, evitando ritardi o che il malato debba girare come una pallina da un centro all'altro.

Inoltre, la multidisciplinarietà diventa centrale e rilevabile nella stessa cartella clinica del paziente". I vantaggi delle Reti sono chiari: i pazienti possono accedere alle cure migliori senza spostarsi dal proprio domicilio con una uniformità di trattamenti sul territorio ed evidenti risparmi per il sistema.





SCOPERTO NUOVO FARMACO ANTI-CANCRO CHE FUNZIONA SUI BAMBINI E SUGLI ADULTI

Da uno studio Usa su 17 tipi diversi di cancro, ha efficacia duratura

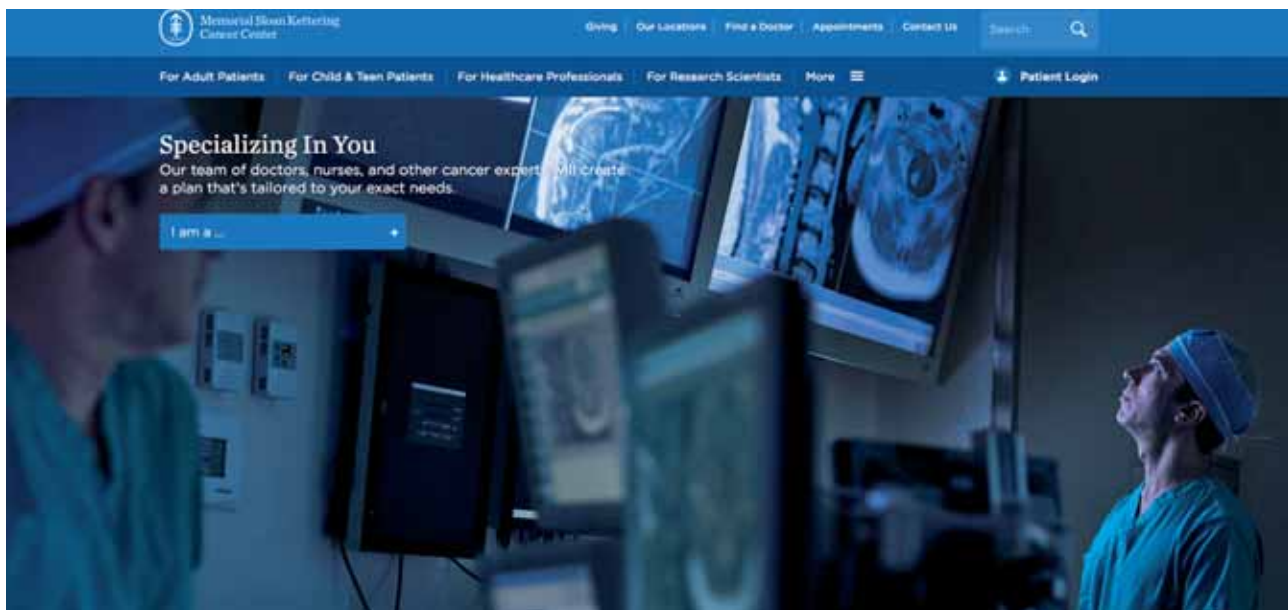
Messo a punto un primo potenziale farmaco anti-cancro che si è dimostrato efficace contro molti tipi di tumore, indipendentemente dall'età del paziente. I dati arrivano da uno studio del Memorial Sloan Kettering Cancer Center di New York presentato al Congresso della Società americana di oncologia clinica (Asco). Nelle sperimentazioni cliniche su 55 bambini e adulti con 17 diversi tipi di tumori avanzati, il trattamento con la nuova molecola "larotrectinib" ha determinato una risposta positiva nel 76% dei pazienti. La risposta è stata inoltre duratura, con il 79% delle risposte che ha superato i 12 mesi in media dall'inizio della terapia e in un caso, ancora in atto, di 25 mesi. La nuova molecola colpisce una particolare anomalia genetica, definita 'Trk fusion'. Si tratta dunque il paziente basandosi sul particolare tipo di mutazione che egli presenta,

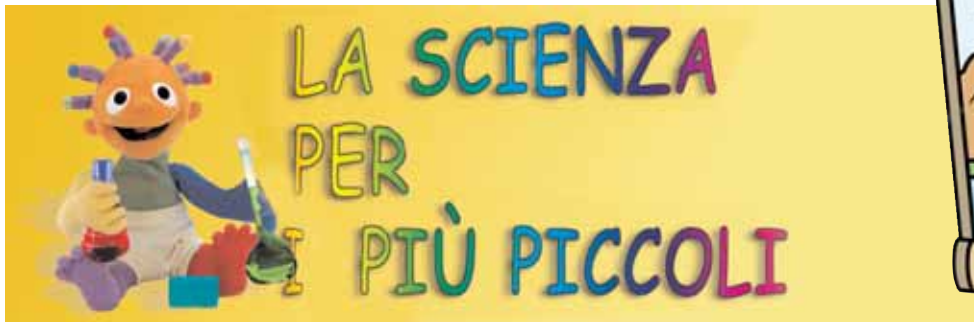


indipendentemente dal cancro di cui soffre. Per questo, ha affermato il primo autore dello studio David Hyman, "crediamo che i risultati molto positivi ottenuti dal farmaco debbano spingere la diffusione dei test genetici in pazienti con cancro avanzato per verificare se essi presentano tale anomalia". I risultati, ha annunciato Hyman, "saranno presentati all'ente Usa per i farmaci (Food and Drug Administration - Fda) per l'approvazione della molecola. Se approvata, questa po-

trebbe diventare la prima terapia valida simultaneamente sia per i bambini sia per gli adulti, e la prima terapia target ad essere indicata per una definizione molecolare di cancro che supera la tradizionale divisione per 'tipi' di tumore". Nel 2016, la Fda ha riconosciuto questa come una 'breakthrough therapy' (letteralmente terapia rivoluzionaria), una designazione che serve a velocizzare lo sviluppo di farmaci promettenti per trattare malattie che mettono a serio rischio la vita.

5



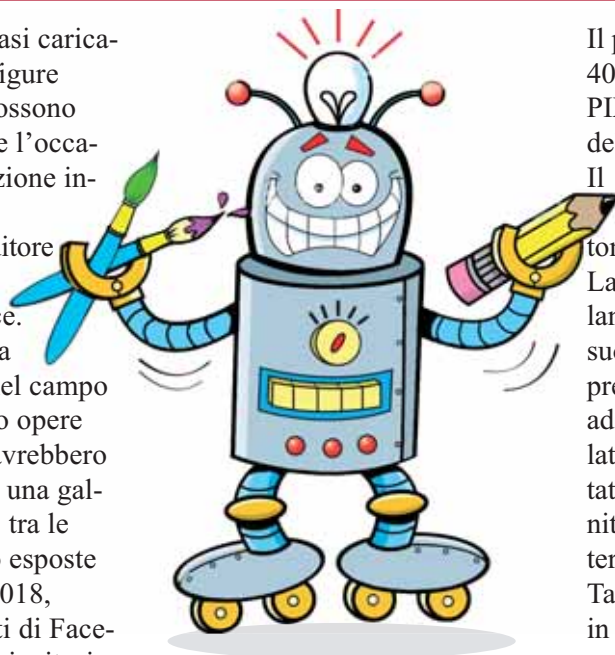


■ GARA TRA ROBOT ARTISTI A COLPI DI RITRATTI E PAESAGGI

Opere da tutto il mondo in mostra a Seattle

6

Ritratti classici o quasi caricaturali, paesaggi e figure astratte: anche i robot possono realizzare opere d'arte, e l'occasione è stata la competizione internazionale RobotArt, organizzata dall'imprenditore Andrew Conru, uno dei pionieri dell'e-commerce. La gara ha visto robot da tutto il mondo sfidarsi nel campo della pittura, realizzando opere che, secondo i giudici, avrebbero avuto molto successo in una galleria d'arte. Le migliori, tra le 200 presentate, saranno esposte al pubblico nell'estate 2018, a Seattle. Esperti e utenti di Facebook hanno decretato i vincitori.



Il primo posto, e il premio di 40.000 dollari, se l'è aggiudicato PIX18 & Creative Machines Lab, della Columbia University.

Il robot ha dipinto una casa che si intravede tra gli alberi dai toni verde pallido e viola intenso. La Kasetsart University della Thailandia è arrivata seconda, con il suo robot CMIT ReART: la grande precisione dei suoi quadri è dovuta ad una programmazione "pennellata per pennellata" che lo ha portato a eseguire un ritratto molto nitido e un po' stilizzato. Molto interessanti anche i lavori di HEAR-Talion, della Halmstad University in Svezia, che in pochi tratti esprime diversi stati d'animo.

ANIMALI IN REPARTO

È stata un grande successo la visita degli animali portati in reparto da l'Arca dei camaleonti con animaletti belli quanto stranissimi come l'insetto stecco, la lumaca gigante africana, il riccio albino, la pogona (lucertola australiana) la tarantola, tartarughe e serpente. Nessuna paura, tutti i bambini sono rimasti entusiasti e tutti volevano toccare, prendere in mano i simpatici animaletti.



GRANDI ANIMAZIONI nel reparto di Oncologia Pediatrica del Policlinico Umberto I

Nei mese di maggio grazie a "Io, domani..." è stato un profluvio di attività.

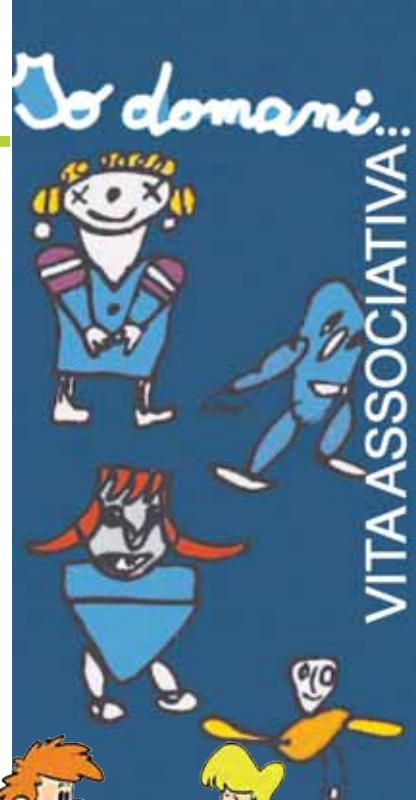
Animatori di ogni tipo: i clown dottori con Coccinella, Ci-pollina, Molletta e Balletta hanno rubato tanti sorrisi ai piccoli pazienti e alle loro famiglie.

Giochi e musica: simpaticissimi ed amatissimi con Fabiana, Tiziano, Giordana e Giada; tanta musica e doni per i più piccini.

Meravigliosi pomeriggi: con la bravissima e dolcissima Sheryl. Il mago Yayo ha incantato bambini e adulti con le sue magie e poi Paolo, il mago dai capelli verdi che ha sbalordito con le sue fantastiche creazioni realizzate con palloncini coloratissimi.

A tutto dolce: Altra iniziativa accolta con grandissimo entusiasmo è stata il pomeriggio dedicato alla preparazione dei dolci con tantissimo cioccolato, alla fine bambini dolcissimi coccolati dalla nostra volontaria Luisa (la golosa del gruppo) che ha preparato biscotti e dolci.

Pizza per tutti: È continuata questa iniziativa, sempre molto gradita da piccoli e genitori, questa iniziativa è stata ormai calendarizzata con cadenza settimanale.



7





NOTIZIA SU FIAGOP

A maggio si è svolto a Roma il convegno europeo della **Childhood Cancer International**, la ns. associazione ha contribuito al successo dell'evento fornendo risorse e tutto il supporto richiesto dalla Federazione. Per tale convegno il Capo dello Stato Sergio Mattarella ha conferito la "medaglia del Presidente della Repubblica" alla Fiagop.

CAMPAGNA

La Pasqua con "Io, domani..."

Nel mese di aprile è proseguita l'iniziativa cioccolata solidale, ovunque siamo stati accolti molto favorevolmente e quanto raccolto ha superato il traguardo dello scorso anno del 27%.

Un ringraziamento a tutti gli amici che hanno collaborato a questo successo: Sara, Luisa, Marina, Alessandra, Daniela, Anna, Federica.

Un doveroso ringraziamento a Claudia che con una gestione attenta e capillare ha consentito di evitare ogni rimanenza, un grazie grande grande a tutti.



CONVOCAZIONE DELL'ASSEMBLEA ORDINARIA DEI SOCI

presso la sede di **Via Giolitti, 255 (Roma)** per determinare il numero dei consiglieri del Consiglio Direttivo

- in **prima convocazione** per il giorno **11 settembre 2017 - alle ore 08,30 e**
- in **seconda convocazione** per il giorno **12 settembre 2017 - alle ore 18,30**

LETTERA DI APPREZZAMENTO PER IL LAVORO DEI VOLONTARI

Vogliamo riportare qui di seguito la lettera di una mamma che ha vissuto un periodo nel ns. reparto; comprensibile il ns. compiacimento per le ore trascorse insieme, quanto facciamo è ampiamente ripagato dai sorrisi dei vs. figli e dall'apprezzamento dei genitori.



C'È POSTA PER "IO, DOMANI..."

Contribuisci tu stesso a creare i prossimi numeri del nostro giornalino!

Se hai esperienze raccontaci la tua storia o la tua esperienza al fianco di "IO, domani...". Vai anche tu su www.iodomani.it e inserisci i tuoi dati e il tuo messaggio per noi.

Oppure scrivici ad alti@iodomani.it