

Progetto sul Neuroblastoma ad Alto Rischio



Fondazione
VERONESI

Il **neuroblastoma (NB)** è il tumore solido extracranico più comune dell'infanzia e rappresenta circa il 10% di tutte le neoplasie pediatriche.

Purtroppo, circa la metà dei bambini colpiti da neuroblastoma riceve una diagnosi di **neuroblastoma ad alto rischio (HR)**. In questi casi, nonostante i trattamenti intensivi, la probabilità che la malattia si ripresenti o diventi resistente alle cure è ancora molto elevata, intorno al 50%.

Il nuovo progetto finanziato da Fondazione Veronesi è incentrato su uno studio clinico multicentrico, europeo coordinato dall'Ospedale Bambin Gesù di Roma, che ha l'obiettivo di valutare nei bambini con neuroblastoma HR l'efficacia di una nuova terapia basata sull'utilizzo di cellule **CAR-T**, ingegnerizzate per riconoscere e attaccare in modo mirato la proteina **GD2**, presente sulle cellule tumorali.

Più nel dettaglio, lo studio si propone di valutare l'efficacia delle cellule **GD2 CAR-T** in pazienti la cui malattia si è dimostrata resistente o è ricomparsa dopo le terapie standard di prima linea.

L'efficacia delle cellule GD2 CAR-T è già stata testata in uno studio iniziale che ha mostrato risultati promettenti con un tasso di risposta del 77% e un profilo di tossicità gestibile, senza evidenza finora di effetti collaterali a lungo termine.

Se i risultati positivi già osservati presso l'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma verranno confermati, il passo successivo sarà quello di rendere la terapia con cellule GD2 CAR-T disponibile a un numero sempre maggiore di bambini in Europa.

Questo studio rappresenta uno dei pochi progetti accademici **multicentrici e internazionali** nel suo campo e favorirà la collaborazione tra le istituzioni coinvolte, promuovendo lo sviluppo di tecnologie all'avanguardia per il trattamento di questa malattia. Inoltre, potrebbe aprire la strada a **nuove terapie per diverse patologie oncologiche** dal momento che il bersaglio molecolare GD2 è presente anche sulla superficie di altre cellule tumorali, come quelle di diversi tipi di neoplasie cerebrali, melanoma, retinoblastoma e sarcoma osseo.

Nella prima fase di attivazione dello studio verrà data priorità al coinvolgimento dei seguenti centri: l'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù, l'Istituto Gustave Roussy, il Great Ormond Street Hospital for Children, il Vall d'Hebron University Hospital, l'Università Charité e il St. Anna Children's Cancer Research Institute.



SVOLTO PRESSO centro coordinatore

Ospedale Pediatrico Bambino Gesù – IRCCS
Roma

Institut Gustave Roussy
Villejuif

Great Ormond Street Hospital for Children
Londra

Vall d'Hebron University Hospital
Barcellona

Charité – Universitätsmedizin Berlin
Berlino

St. Anna Children's Cancer Research Institute
Vienna



DURATA 4 anni



IMPORTO DA FINANZIARE 4.8 milioni di euro

