



Schweizerische Pädiatrische Onkologie Gruppe
Groupe d'Oncologie Pédiatrique Suisse
Gruppo d'Oncologia Pediatrica Svizzera
Swiss Paediatric Oncology Group

ML-DS 2018

La Società di oncologia ed ematologia pediatrica GPOH (Gesellschaft für pädiatrische Onkologie und Hämatologie gGmbH) in Germania è responsabile della realizzazione internazionale della sperimentazione in qualità di promotore. In Svizzera, la responsabilità dell'esecuzione della sperimentazione è assunta dal Gruppo d'Oncologia Pediatrica Svizzera (SPOG) (rappresentante del promotore).

Contesto

La leucemia mieloide (ML) è una rarissima malattia tumorale del sangue nei bambini e negli adolescenti, che colpisce tutto il corpo. Nei bambini con sindrome di Down (DS) il rischio che si sviluppi una leucemia mieloide è molto più elevato. Nonostante la loro prognosi sia migliore rispetto a quella dei bambini non affetti da sindrome di Down, queste/i pazienti soffrono maggiormente degli effetti collaterali provocati dalla chemioterapia intensiva. Per questi motivi i bambini con ML-DS hanno bisogno di un trattamento speciale. In Svizzera circa tre bambine/i e adolescenti all'anno sono colpiti da questa malattia e possono partecipare alla sperimentazione ML-DS 2018.

Perché è necessaria questa sperimentazione?

Diversamente da quanto avviene nel trattamento standard, nel quadro di questa sperimentazione nella prima metà del trattamento viene somministrato il medicamento Vyxeos. Vyxeos è già omologato per il trattamento di leucemie mieloidi negli adulti con risultati molto promettenti. Al momento il medicamento non è ancora omologato per bambine/i, anche se è già stato utilizzato con successo nell'ambito di sperimentazioni su bambine/i con leucemia. Questa è la prima sperimentazione in cui Vyxeos viene impiegato su bambini con sindrome di Down e ML.

Nell'ambito della sperimentazione, parallelamente al trattamento standard, durante la terapia viene misurato il numero di cellule tumorali rimaste nel sangue e nel midollo osseo. Questa analisi serve a valutare con quale probabilità la malattia potrebbe ricomparire al termine del trattamento ed è inclusa nel piano di trattamento. Per i bambini con una bassa probabilità di ricaduta, nell'ambito dello studio, verso la fine del trattamento, viene applicata una dose di medicamento ridotta rispetto alla terapia standard.

Affinché l'efficacia e la sicurezza del trattamento sperimentale possano essere studiati correttamente e in maniera dettagliata, da un lato viene effettuata una diagnosi standardizzata in cosiddetti laboratori di riferimento e, dall'altro, vengono raccolti, conservati e valutati congiuntamente i dati medici di tutte/i le/i pazienti partecipanti.

Dati di contatto del rappresentante del promotore in Svizzera:

SPOG Coordinating Center
Partner Relations
Effingerstrasse 33
3008 Berna

E-mail: partnerrelations@spog.ch
Tel.: +41 31 389 91 89