

20 marzo 2019



18



Al via una nuova sperimentazione per CAR-T contro leucemia mieloide acuta e mieloma multiplo
di ANNA LISA BONFRANCESCHI



Sì dell'Aifa per l'avvio di uno studio clinico con un nuovo prodotto a base di cellule CAR-T, sia su adulti che bambini. Lo studio riguarderà diversi centri, due in Italia

UN NUOVO studio europeo, una nuova sperimentazione in Italia per il futuro di CAR-T, i trattamenti che usano le cellule del sistema immunitario armate contro il cancro. L'Agenzia italiana del farmaco (Aifa), infatti, ha appena concesso l'autorizzazione all'avvio di una sperimentazione clinica della biotech MolMed per testare sicurezza ed efficacia di un nuovo prodotto a base di linfociti modificati in laboratorio contro leucemia mieloide acuta e mieloma multiplo.

Un nuovo bersaglio

Come già anticipato in occasione della presentazione dei [risultati](#) ottenuti sui modelli animali al congresso dell'European Society of Gene and Cell Therapy (ESGCT) di Losanna, il prodotto della biotech, spin-off dell'Istituto scientifico San Raffaele, colpisce un bersaglio nuovo nei tumori. Nuovo rispetto a quello preso di mira dalle due terapie a base di cellule CAR-T già approvate in Usa e in Europa, dirette contro alcuni tipi di tumori ematologici (come leucemia linfoblastica acuta a cellule B e linfomi a grandi cellule B). Il bersaglio in questione è la variante 6 dell'antigene CD44 (CD44v6), una proteina espressa sia da tumori ematologici che solidi, come tumori del colon, del polmone, del pancreas e di testa e collo. Nel protocollo sperimentale, analogamente a quanto viene fatto con le terapie già approvate (che colpiscono il CD19, presente sui linfociti T), i linfociti T vengono ingegnerizzati in laboratorio così da renderli capaci di riconoscere e aggredire le cellule che esprimono questa proteina, armandoli con un recettore non esistente in natura. A Losanna, erano stati

presentati i risultati ottenuti con CAR-T contro questo antigene (CAR-T CD44v6) su alcuni modelli animali con tumori solidi, e si era dato l'annuncio dell'avvio a breve di una sperimentazione clinica su alcuni tumori ematologici. E oggi, dopo il parere positivo espresso dall'Istituto superiore di sanità (Iss), è arrivato l'ok anche dell'Aifa.

Eure-Cart, per leucemia mieloide acuta e mieloma multiplo

La sperimentazione è cuore del [progetto europeo](#) EURE-CART, iniziativa finanziata all'interno di Horizon2020, coordinato dall'azienda italiana. Cinque i centri clinici che prenderanno parte alla sperimentazione: l'Ospedale San Raffaele di Milano e l'Ospedale Pediatrico Bambino Gesù di Roma per l'Italia, insieme ad altre tre strutture in Spagna, Germania e Repubblica Ceca. Nella prima parte dello studio, condotta solo su adulti con leucemia mieloide acuta e mieloma multiplo, i ricercatori cercheranno di identificare la Dose Massima Tollerata (MTD) tra quelle previste dal protocollo. Solo in una seconda fase, che prevede l'inclusione anche di pazienti pediatrici, verrà analizzata l'attività terapeutica delle cellule CAR-T.

L'aggiunta del gene suicida

I trattamenti a base di linfociti armati in laboratorio sono da considerare ancora, sotto diversi aspetti, terapie sperimentali, oggetto di studio di diverse sperimentazioni cliniche in giro per il mondo, volte a testarne efficacia e profilo di sicurezza in alcuni tipi di tumori. Queste terapie possono infatti avere [effetti collaterali](#) anche gravi, come la sindrome da rilascio di citochine, che i ricercatori stanno imparando a gestire. Nella sperimentazione appena avviata, proprio con il fine di aumentare la sicurezza del prodotto CAR-CD44v6, è incluso anche un gene suicida. Si tratta di una sorta di "tasto di controllo" della terapia che permette, in caso di tossicità, di *spegnere* l'attività delle cellule modificate inducendone la distruzione.

Argomenti

[Car-T](#) [nuovi farmaci](#) [mieloma multiplo](#) [Salute](#) [sistema immunitario](#)