



Tisagenlecleucel nella leucemia linfoblastica acuta

Data 04 febbraio 2018
Categoria ematologia

Tisagenlecleucel è efficace nella leucemia linfoblastica acuta dei bambini e dei giovani adulti.

In una pillola pubblicata contemporaneamente a questa abbiamo brevemente sintetizzato i concetti fondamentali che sottostanno alla terapia CAR-T.

Ora il New England Journal of Medicine pubblica uno studio in cui è stata usata la terapia CAR-T con tisagenlecleucel in soggetti affetti da leucemia linfoblastica acuta a cellule B CD19+. Si trattava di pazienti che non avevano risposto alla terapia standard oppure che avevano avuto una recidiva.

Lo studio ha arruolato 75 bambini o giovani. I partecipanti sono stati sottoposti ad una singola infusione di tisagenlecleucel. A 3 mesi si aveva una remissione nell'81% dei casi. A 6 mesi la sopravvivenza era del 90% e a 12 mesi del 76%.

Eventi avversi si sono osservati nel 73% dei casi mentre una sindrome da rilascio di citochine si è verificata nel 77% dei casi. Nel 48% dei casi è stato usato il tocilizumab.

In questi giorni i media italiani hanno ampiamente riferito del primo paziente italiano affetto da leucemia linfoblastica acuta a cellule B sottoposto a Roma a terapia CAR-T con tisagenlecleucel. Secondo quanto riferisce la stampa ad un mese dall'intervento il paziente sta bene e nel midollo non si ritrovano cellule neoplastiche.

La terapia genica CAR-T, che è stata definita il maggior progresso dell'anno in campo oncologico dall'ASCO, comincia quindi ad entrare nel mondo reale anche se saranno necessari ancora studi e follow up prolungati per chiarire il ruolo nel trattamento della emopatie maligne e dei tumori in generale.

Renato Rossi

Bibliografia

1. <http://www.pillola.org/public/aspnuke/news.asp?id=6890>
2. Mais e SL ed al. Tisagenlecleucel in Children and Young Adults with B-Cell Lymphoblastic Leukemia. N Engl J Med 2018 Feb 1; 378:439-448.