

# Primo protocollo di precisione contro un tumore dei bambini

Nato in Italia e basato sul genoma, nel mirino il neuroblastoma

Uno dei più aggressivi tumori dei bambini, il neuroblastoma, è entrato nel mirino della medicina di precisione grazie a Preme, il primo protocollo italiano in questo settore basato sui dati genetici e promosso da più centri. E' coordinato dall'Istituto Giannina Gaslini di Genova con il gruppo di Mirco Ponzoni, responsabile del laboratorio di Terapie sperimentali in oncologia, ed è co-finanziato dallo stesso Gaslini, dalla Fondazione Italiana per la Lotta al Neuroblastoma e associazione Open; vi partecipa fra gli altri il Ceinge Biotecnologie Avanzate Franco Salvatore di Napoli con i gruppi diretti dai genetisti Mario Capasso e Achille Iolascon, dell'Università Federico II di Napoli.

I campioni prelevati in più centri italiani da bambini colpiti da questa forma di tumore vengono caratterizzati presso il Gaslini e poi analizzati alla ricerca di mutazioni presso Ceinge e Cibio; i dati sono poi utilizzati per sviluppare modelli preclinici di neuroblastoma ancora al Gaslini. In questo modo si ottiene l'identikit genetico del tumore e su questa base vengono poi individuate le terapie che hanno le maggiori probabilità di successo. Questo è possibile grazie alla collaborazione di biologi, genetisti, clinici e bioinformatici, osservano i responsabili dell'esecuzione del progetto Chiara Brignole e Fabio Pastorino, entrambi del Gaslini.

Nato come progetto di ricerca nel 2019, Preme è diventato dal 2022 un vero protocollo clinico con capofila l'Istituto Gaslini, con l'oncologa Loredana Amoroso. Il primo studio, condotto su 18 bambini, è stato pubblicato recentemente sul Journal of Translational Medicine. "

Grazie a tecniche di sequenziamento di nuova generazione e sofisticate analisi bioinformatiche condotte al Ceinge e al Cibio dell'Università di Trento - osserva Capasso, che guida il team di bioinformatici del Ceinge - è emerso che l'84% dei pazienti affetti da neuroblastoma presentava alterazioni genomiche suscettibili di intervento terapeutico". Due terzi di questi casi sono stati classificati come di 'priorità molto alta', aprendo la possibilità di beneficiare di farmaci già approvati o di nuovi agenti terapeutici in fase di sviluppo. "La terapia mirata molecolare è stata applicata a quattro pazienti, mentre la consulenza genetica - dice Pastorino - è stata proposta a due pazienti con mutazioni germinali che indicavano una predisposizione familiare allo sviluppo di tumori". Secondo Ponzoni "terapie mirate, adattate alle specifiche mutazioni presenti nei pazienti, la personalizzazione del trattamento e l'impiego di modelli preclinici avanzati trasformano la ricerca traslazionale in benefici tangibili per i pazienti, migliorando la loro prognosi". Per il direttore scientifico dell'ospedale pediatrico, Angelo Ravelli, il programma Preme è "una risorsa fondamentale per i ricercatori, che favorisce l'identificazione di nuove molecole suscettibili di interventi terapeutici più efficaci e specifici, soprattutto a beneficio delle forme refrattarie o recidivate".

[DottNet - Il cibo spazzatura facilita le allergie nei bambini, lo studio del Ceinge Biotecnologie](#)



**DottNet**

Primo protocollo di precisione contro un tumore dei bambini

Nato in Italia e basato sul genoma, nel mirino il neuroblastoma

Uno dei più aggressivi tumori dei bambini, il neuroblastoma, è entrato nel mirino della medicina di precisione grazie a Preme, il primo protocollo italiano in questo settore basato sui dati genetici e promosso da più centri. E' coordinato dall'Istituto Giannina Gaslini di Genova con il gruppo di Mirco Ponzoni, responsabile del laboratorio di Terapie sperimentali in oncologia, ed è co-finanziato dallo stesso Gaslini, dalla Fondazione Italiana per la Lotta al Neuroblastoma e associazione Open; vi partecipa fra gli altri il Ceinge Biotecnologie Avanzate Franco Salvatore di Napoli con i gruppi diretti dai genetisti Mario Capasso e Achille Iolascon, dell'Università Federico II di Napoli.

I campioni prelevati in più centri italiani da bambini colpiti da questa forma di tumore vengono caratterizzati presso il Gaslini e poi analizzati alla ricerca di mutazioni presso Ceinge e Cibio; i dati sono poi utilizzati per sviluppare modelli preclinici di neuroblastoma ancora al Gaslini. In questo modo si ottiene l'identikit genetico del tumore e su questa base vengono poi individuate le terapie che hanno le maggiori probabilità di successo. Questo è possibile grazie alla collaborazione di biologi, genetisti, clinici e bioinformatici, osservano i responsabili dell'esecuzione del progetto Chiara Brignole e Fabio Pastorino, entrambi del Gaslini.

Nato come progetto di ricerca nel 2019, Preme è diventato dal 2022 un vero protocollo clinico con capofila l'Istituto Gaslini, con l'oncologa Loredana Amoroso. Il primo studio, condotto su 18 bambini, è stato pubblicato recentemente sul Journal of Translational Medicine. "

Grazie a tecniche di sequenziamento di nuova generazione e sofisticate analisi bioinformatiche condotte al Ceinge e al Cibio dell'Università di Trento - osserva Capasso, che guida il team di bioinformatici del Ceinge - è emerso che l'84% dei pazienti affetti da neuroblastoma presentava alterazioni genomiche suscettibili di intervento terapeutico". Due terzi di questi casi sono stati classificati come di 'priorità molto alta', aprendo la possibilità di beneficiare di farmaci già approvati o di nuovi agenti terapeutici in fase di sviluppo. "La terapia mirata molecolare è stata applicata a quattro pazienti, mentre la consulenza genetica - dice Pastorino - è stata proposta a due pazienti con mutazioni germinali che indicavano una predisposizione familiare allo sviluppo di tumori". Secondo Ponzoni "terapie mirate, adattate alle specifiche mutazioni presenti nei pazienti, la personalizzazione del trattamento e l'impiego di modelli preclinici avanzati trasformano la ricerca traslazionale in benefici tangibili per i pazienti, migliorando la loro prognosi". Per il direttore scientifico dell'ospedale pediatrico, Angelo Ravelli, il programma Preme è "una risorsa fondamentale per i ricercatori, che favorisce l'identificazione di nuove molecole suscettibili di interventi terapeutici più efficaci e specifici, soprattutto a beneficio delle forme refrattarie o recidivate".