

# Una cura personalizzata per il neuroblastoma

Svolta nel trattamento grazie al programma PREME

Si chiama PREME ed è il primo protocollo prospettico multicentrico italiano di medicina di precisione focalizzato sul Neuroblastoma.

L'obiettivo primario di PREME è rappresentato dalla caratterizzazione genomica di campioni di pazienti affetti da neuroblastoma alla diagnosi, in casi di refrattarietà al trattamento di prima linea o in recidiva, per lo sviluppo di terapie innovative di medicina di precisione. PREME realizza infatti terapie su misura basate sulle caratteristiche genetiche e molecolari dei tumori individuali, migliorando così le probabilità di successo e l'efficacia dei trattamenti sui piccoli pazienti. Tutto questo grazie all'impiego di metodologie all'avanguardia e alle competenze di un team multidisciplinare composto da biologi, genetisti, clinici e bioinformatici, spiegano i due ricercatori senior del team dell'Istituto Gaslini di Genova, dottori Chiara Brignole e Fabio Pastorino, responsabili dell'esecuzione del progetto. Nato come progetto di ricerca nel 2019, dal 2022 è diventato un vero protocollo clinico con capofila l'Istituto Gaslini.

Una nuova speranza nella cura di tumori fortemente aggressivi e ad alto rischio, spesso con esiti nefasti, che colpiscono i bambini. Recentemente è stato pubblicato sulla rivista Journal of Translational Medicine il primo studio biologico dell'equipe di PREME, che documenta i risultati ottenuti dal programma PREME su un campione di 18 pazienti. «Grazie a tecniche di sequenziamento di nuova generazione e sofisticate analisi bioinformatiche condotte al CEINGE e al CIBIO dell'Università di Trento - spiega Mario 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 è stata proposta a due pazienti con mutazioni germinali che indicavano una predisposizione familiare allo sviluppo di tumori», sottolinea Fabio Pastorino.

In PREME, i campioni di neuroblastoma provenienti da diversi centri oncologici pediatrici italiani vengono caratterizzati presso il Laboratorio di Terapie Sperimentali in Oncologia e l'Anatomia Patologica dell'Istituto Gaslini. I campioni vengono successivamente analizzati a livello genico per l'individuazione di mutazioni somatiche potenzialmente bersagliabili da farmaci mirati (presso CEINGE e CIBIO) e utilizzati per lo sviluppo di modelli preclinici di neuroblastoma (presso il Laboratorio di Terapie Sperimentali in Oncologia).

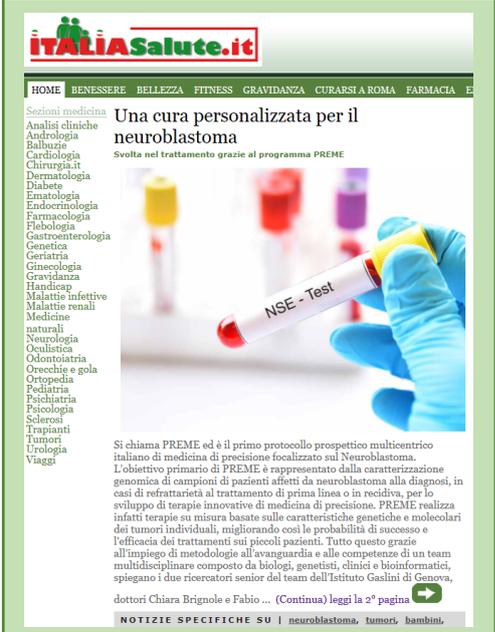
«Nel lavoro appena pubblicato abbiamo dimostrato che tali modelli mantengono le caratteristiche geniche e immunofenotipiche dei pazienti di origine, contribuendo alla creazione di una collezione locale di campioni biologici molto preziosa per la validazione degli effetti anti-tumorali dei farmaci molecolari-guidati e delle potenziali combinazioni terapeutiche», aggiunge Chiara Brignole.

«PREME segna un avanzamento decisivo nell'ottimizzazione della cura e del trattamento del neuroblastoma - chiarisce Mirco Ponzoni responsabile del Laboratorio di Terapie Sperimentali in

Oncologia dell'Istituto Gaslini -. L'applicazione di 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».

«Il programma PREME è uno dei fiori all'occhiello della ricerca dell'IRCCS Istituto Gaslini - commenta il direttore scientifico dell'ospedale pediatrico Angelo Ravelli - e rappresenta uno sforzo importante e straordinariamente innovativo mirato a mettere a punto terapie di precisione per uno dei tumori più temibili dell'età pediatrica. Il progetto ha portato alla creazione presso il Gaslini di una collezione di campioni biologici e di modelli preclinici provenienti da campioni tumorali di pazienti seguiti in numerosi centri italiani. Si tratta di 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».

[Tumori UNA CURA PERSONALIZZATA PER IL NEUROBLASTOMA notizie di salute su Tumori \(italiasalute.it\)](https://www.italiasalute.it/news/una-cura-personalizzata-per-il-neuroblastoma)



The screenshot shows a webpage from ITALIASalute.it. At the top, there is a navigation menu with links: HOME, BENESSERE, BELLEZZA, FITNESS, GRAVIDANZA, CURARSI A ROMA, FARMACIA, and E. Below the menu is a vertical list of medical specialties under the heading 'Sezioni medicina'. The main content area features the article title 'Una cura personalizzata per il neuroblastoma' and a sub-headline 'Svolta nel trattamento grazie al programma PREME'. An image shows a hand in a blue glove holding a test tube labeled 'NSE - Test'. The article text discusses the PREME protocol, its goals, and the multidisciplinary team involved. At the bottom, there is a 'NOTIZIE SPECIFICHE SU' section with a link to 'neuroblastoma, tumori, bambini'.

**Sezioni medicina**  
 Analisi cliniche  
 Andrologia  
 Balneazione  
 Cardiologia  
 Chirurgia.it  
 Dermatologia  
 Diabete  
 Ematologia  
 Endocrinologia  
 Farmacologia  
 Filologia  
 Gastroenterologia  
 Genetica  
 Geriatria  
 Ginecologia  
 Gravidanza  
 Handicap  
 Malattie infettive  
 Malattie renali  
 Medicine naturali  
 Neurologia  
 Oculistica  
 Odontoiatria  
 Orecchie e gola  
 Ortopedia  
 Pediatria  
 Psichiatria  
 Psicologia  
 Sclerosi  
 Trapianti  
 Tumori  
 Urologia  
 Viaggi

**Una cura personalizzata per il neuroblastoma**  
 Svolta nel trattamento grazie al programma PREME

Si chiama PREME ed è il primo protocollo prospettico multicentrico italiano di medicina di precisione focalizzato sul Neuroblastoma. L'obiettivo primario di PREME è rappresentato dalla caratterizzazione genomica di campioni di pazienti affetti da neuroblastoma alla diagnosi, in casi di refrattarietà al trattamento di prima linea o in recidiva, per lo sviluppo di terapie innovative di medicina di precisione. PREME realizza infatti terapie su misura basate sulle caratteristiche genetiche e molecolari dei tumori individuali, migliorando così le probabilità di successo e l'efficacia dei trattamenti sui piccoli pazienti. Tutto questo grazie all'impiego di metodologie all'avanguardia e alle competenze di un team multidisciplinare composto da biologi, genetisti, clinici e bioinformatici, spiegano i due ricercatori senior del team dell'Istituto Gaslini di Genova, dottori Chiara Brignole e Fabio ... (Continua) leggi la 2ª pagina

NOTIZIE SPECIFICHE SU | neuroblastoma, tumori, bambini