



Filo diretto con...

MARZO 2009

Anno
2

Numero
6

LA DIVISIONE DI ONCOLOGIA PEDIATRICA DEL
POLICLINICO UNIVERSITARIO "A. GEMELLI"

Cari amici ...



...eccoci di nuovo con un nuovo numero di questa newsletter. Come sempre ci proponiamo di stabilire un "Filo diretto" tra la nostra Divisione di Oncologia Pediatrica, i genitori e i nostri sostenitori che vogliamo ringraziare, rendendoli partecipi di tutte le iniziative e progetti volti a sostenere il trattamento dei nostri piccoli pazienti.

Desidero ringraziare tutti coloro che mettono a disposizione la loro arte e i loro mezzi per aiutare i nostri bambini e le loro famiglie a superare i momenti difficili della malattia. Come sempre il nostro sforzo è volto ad offrire a tutti i bambini le migliori cure possibili ma nello stesso tempo dare a loro e alle loro famiglie un sostegno che vada al di là della medicina.

Desidero, infine, augurarvi, con tutte le persone che quotidianamente lavorano al mio fianco, una Pasqua serena insieme alle persone a voi care.

Prof. Riccardo Riccardi

Primario della Divisione di Oncologia Pediatrica Policlinico A. Gemelli - Roma

Musica e Medicina

"Ars Cantandi" per la Divisione di Oncologia Pediatrica

A volte scienza e arte si incontrano. A volte si incontrano sulla strada della solidarietà. Questa è una grande occasione di musica e umanità: Massimiliano Pulvano Guelfi, direttore artistico dell'Associazione "Ars Cantandi" presenta il recital del maestro **Gianni Maria Ferrini**.

L'evento si terrà presso l'Auditorium dell'UCSC in data 28 marzo 2009 alle ore 18. Tutti i proventi saranno devoluti a favore della Divisione di Oncologia Pediatrica. Tali fondi saranno utilizzati interamente per fornire un aiuto pratico ai piccoli pazienti e alle loro famiglie. Verranno quindi acquistati buoni benzina, buoni taxi e altre agevolazioni per le numerose famiglie pro-

venienti da diverse regioni d'Italia, che oltre ad affrontare la malattia del proprio bambino possono avere anche difficoltà di tipo economico.

Gianni Maria Ferrini non è nuovo a questo tipo di iniziative: il maestro ha infatti partecipato a manifestazioni concertistiche benefiche a favore di Onlus, ONG e varie associazioni di volontariato. Ferrini, romano, consegue il diploma in pianoforte al Conservatorio Santa Cecilia. È allievo dell'illustre Maestro Orazio Frugoni, che ha espresso negli anni una profonda ammirazione per le capacità e la sensibilità del suo allievo. Giovanissimo, intraprende un'intensa attività concertistica presso importanti istituzioni musicali ed estere: si esibisce infatti come solista in molte produzioni del Teatro dell'Opera di Roma; collabora con il Teatro Argentina, con l'Accademia Filarmonica di Bologna e molte altre strutture. Partecipa anche a molti Festival pianistici nazionali, come la XXXIII edizione dell'Estates Musicale Frentana di Lanciano nel

2004, su invito del Maestro Donato Renzetti. Da qualche anno si dedica, infine, con grande passione, anche all'attività didattica.

Tutti i bambini desiderano ringraziare il maestro Ferrini per aver voluto donare un po' della sua arte dedicando questo recital a favore della Divisione di Oncologia Pediatrica.

Siete dunque tutti invitati a partecipare a questa serata di musica e solidarietà: non mancate, i piccoli pazienti dell'Oncologia Pediatrica hanno bisogno anche di voi!



X 5 mille

Sostieni la ricerca in oncologia pediatrica destinando il 5 per mille dell'IRPEF alla Fondazione per

l'Oncologia Pediatrica che supporta l'attività della nostra Divisione, firmando

nel riquadro **"Finanziamento agli enti della ricerca scien-**

tifica e delle Università" e indicando il C.F. della

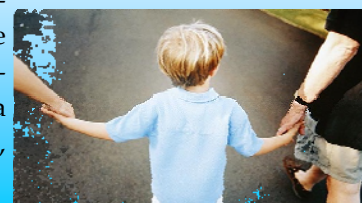
Fondazione: **97107680585**. La nostra Divisione

promuove la ricerca scientifica nel campo dei tumori pediatrici collaborando in prima persona all'esecuzione di

trial clinici di fase I e II. Lavoriamo per dare sempre

maggiori opportunità ai nostri bambini. Ancora una

volta, con il vostro aiuto, potremo fare di più.



L'Europa e l'oncologia pediatrica

Lo sviluppo dei farmaci in oncologia pediatrica ha avuto in passato una serie di difficoltà legate allo scarso numero di pazienti,

alle problematiche di carattere etico, all'inesistenza di vantaggi economici per le case farmaceutiche e di conseguenza al limitato numero di farmaci disponibili per la sperimentazione nei bambini. In questo modo i nuovi farmaci potevano essere usati per i bambini solo dopo l'autorizzazione alla loro immissione sul mercato con ritardi a volte di decenni rispetto al loro utilizzo negli adulti.

In questo scenario, la Comunità Europea ha cercato di creare un sistema per sostenere lo sviluppo di nuovi farmaci in ambito pediatrico. Il 26 gennaio del 2007 è entrato in vigore il "Regolamento Europeo sui farmaci per uso pediatrico", che si propone di sostenere lo sviluppo di nuovi farmaci per il trattamento di patologie prettamente pediatriche e l'approvazione di farmaci già esistenti da utilizzare anche per i bambini.

D'altro canto è importante ottimizzare le risorse umane ed economiche disponibili: molte patologie pediatriche per le quali non esiste ancora un trattamento ottimale, sono patologie rare, come i tumori. In quest'ottica è necessario selezionare in maniera attenta i farmaci degni di proseguire il percorso di valutazione di efficacia e di tossicità, evitando studi clinici superflui.

L'attività di ricerca di sviluppo non è limitata solamente allo studio di nuove molecole. In molti casi è necessario vagliare l'appropriatezza

di nuove indicazioni all'utilizzo di farmaci già disponibili, o l'affidabilità di nuove formulazioni e vie di somministrazione. Per incoraggiare le Industrie Farmaceutiche ad effettuare studi in Pediatria, il Regolamento prevede un prolungamento di sei mesi del brevetto o dei certificati di protezione di cui beneficiano le Industrie se effettuano uno studio Pediatrico su un loro farma-



co, indipendentemente dall'esito del trial. Risulta abbastanza intuitiva la necessità di un organo di controllo dell'appropriatezza e della fattibilità di questi studi, evitando sprechi di risorse. Inoltre, se i farmaci sono destinati al trattamento di malattie rare pediatriche, l'industria riceve una proroga dell'esclusiva di mercato di due anni. Infine, un'importante novità introdotta dal regolamento riguarda i farmaci non più coperti da brevetto e utilizzati attualmente con dosaggi, indicazioni e formulazioni non approvati specificatamente per i bambini (*uso off-label*). L'azien-

da che finanzia studi sul loro impiego in Pediatria ottiene una particolare forma di registrazione, chiamata *Paediatric Use*

Marketing Authorisation (PUMA) che dà diritto a un brevetto della durata di dieci anni.

Il Regolamento Europeo del 2007, incentivando le Industrie Farmaceutiche a pianificare studi pediatrici, di certo apre nuovi scenari anche nel panorama dei farmaci utilizzati per la cura delle neoplasie dei bambini. Allo stesso tempo è importante contenere gli effetti collaterali a medio e lungo termine per migliorare la qualità di vita di quei bambini che con ragionevole probabilità riusciranno a superare la malattia. Una misura evidente del successo di questa normativa è legata al numero di studi attualmente in corso in seno all'ITCC (Innovative Therapies for Children with Cancer, www.itcc-consortium.org), consorzio europeo per lo sviluppo di nuovi farmaci antitumorali di cui abbiamo parlato nei numeri precedenti. In particolare sono stati presentati dodici studi ITCC e altri dieci sono in fase avanzata di preparazione. Un'importante ricerca, attualmente in corso presso la nostra Divisione di Oncologia Pediatrica, riguarda la trasformazione in sciroppo di alcuni farmaci antitumorali attualmente disponibili solo in compresse. Questo progetto europeo nasce in collaborazione con centri francesi e inglesi e permetterà una somministrazione più semplice e più gradita ai bambini molto piccoli che hanno difficoltà a deglutire le formulazioni standard come le capsule o le compresse.

Che cos'è: L'emofilia

L'emofilia è una malattia a trasmissione ereditaria in cui vi è una produzione ridotta o addirittura assente di determinati fattori della coagulazione; le forme più comuni sono l'Emofilia A (carenza di fattore VIII) e l' Emofilia B (carenza di fattore IX) e presentano vari livelli di gravità. L'emofilia A, la cui trasmissione è legata al cromosoma X, colpisce circa 1 ogni 5000 neonati maschi ed è caratterizzata prevalentemente da emorragie articolari (emartri) e muscolari (ematomi).

Il trattamento dell'emofilia prevede l'infusione endovenosa del fattore mancante anche più volte al giorno (in base all'emivita del fattore in questione) e questo potrebbe co-

stringere il paziente a frequenti ospedalizzazioni.

Negli ultimi anni comunque, sia per la disponibilità di fattori della coagulazione ricombinanti (quindi non derivati da sangue dei donatori), sia per le nuove "politiche" dei Centri Emofilia la cura di tale patologia non fa più paura.

La terapia di molte malattie croniche come l'emofilia non sarebbe possibile senza la piena collaborazione delle persone malate e delle loro famiglie e responsabilizzare i familiari dei bambini emofilici è oggi il compito fondamentale dei Centri Ospedalieri che si occupano di tale patologia. Nella nostra Divisione di Ematologia e Oncologia Pediatrica, in stretta collaborazione con il Prof. Raffaele Landolfi, esperto europeo di patologie della coagulazione, sono seguiti circa 20

pazienti affetti da emofilia A di età compresa tra i pochi mesi e i 20 anni e la maggior parte di questi pazienti effettua la terapia profilattica con infusione endovenosa periodica (ogni 24-48 ore) di fattore VIII ricombinante a domicilio. La nostra "politica" è stata infatti di educare le mamme dei piccoli emofilici a non temere la venopuntura e ad effettuare personalmente le infusioni ai loro bambini, prima sotto la guida del personale medico e infermieristico del Centro, poi, a casa, coinvolgendo tutta la famiglia.

Attualmente i genitori dei nostri pazienti riescono a somministrare il farmaco a casa, al mattino, permettendo un normale inserimento dei piccoli nell'ambiente scolastico e limitando l'accesso in ospedale ai controlli periodici o ad alcune situazioni post traumatiche. L'auto-

nomia dei genitori nell'infusione endovenosa del fattore ha permesso a molti dei nostri pazienti di praticare regolarmente lo sport che contrariamente a quanto si crede non è controindicato nei soggetti emofilici. Il nuoto, per esempio, è consigliato perché favorisce in modo armonico lo sviluppo di tutta la muscolatura e non espone il bambino a traumi articolari ripetuti, ma anche molte altre discipline sportive, se effettuate in un regime profilattico ottimale, con il consenso dei medici curanti, possono essere praticate senza elevati rischi di emartri.

L'emofilia perciò, se seguita in un centro specializzato oggi non è una patologia invalidante, ma permette un'ottima qualità di vita e il bambino emofilico, in attesa della terapia genica, può affrontare la vita con serenità.



Costanza Escaplon (Wind telecomunicazioni)
 Deborah Coeco (Wind telecomunicazioni)
 Massimiliano Pulvano Guelfi
 Associazione "Happy Family"

Grazie a:

Contatti: Segreteria Divisione di Oncologia Pediatrica, Policlinico Universitario "A. Gemelli"

Largo A. Gemelli, 8, 00168, Roma

Tel. 06 3058203

FAX 06 3052751

E-mail: oncologiapediatrica@rm.unicatt.it

A cura di: Giuseppe Barone, Mirella Oddi, Sonia Terella, Filomena Pierri, Ilaria Francesca Furfaro, Ilaria Lazzareschi.