

Neuroblastoma metastatico, bimba senza sintomi da 32 mesi dopo trattamento con talazoparib, un nuovo farmaco

Un recente studio condotto dal St. Jude Children's Hospital, e pubblicato sulla rivista scientifica *The New England Journal of Medicine*, ha riportato risultati straordinari riguardanti il trattamento di un caso di neuroblastoma metastatico ad alto rischio. Una bambina con mutazioni nel gene *Bard1* ha mostrato una risposta clinica positiva a un farmaco sperimentale chiamato talazoparib, specificamente progettato per colpire queste mutazioni.

Da 32 mesi senza alcun sintomo della malattia

La bambina, resistente alle terapie standard, ha ricevuto il trattamento con talazoparib, un farmaco inibitore della PARP (poli ADP-ribosio polimerasi). Dopo la somministrazione del farmaco, le cellule tumorali sono state completamente eliminate dal suo midollo osseo. La notizia più rilevante è che, dopo 32 mesi dalla fine del trattamento, la bambina non ha mostrato segni clinici di malattia, un risultato straordinario per una paziente con diagnosi di neuroblastoma ad alto rischio. Secondo quanto riferito dal professor Mario Capasso, genetista dell'Università Federico II di Napoli e coordinatore scientifico del Ceinge di Napoli, questo risultato rappresenta un notevole passo avanti. Tipicamente, i pazienti con neuroblastoma ad alto rischio, soprattutto se resistenti alle terapie standard, hanno un'aspettativa di vita limitata a pochi mesi. Tuttavia, la completa eliminazione delle cellule tumorali e l'assenza di recidiva per oltre due anni e mezzo costituiscono un dato molto incoraggiante.

Le mutazioni nel gene *Bard1* l'elemento chiave

Le ricerche del team di Napoli, in collaborazione con il Ceinge, hanno evidenziato l'importanza delle mutazioni nel gene *Bard1* come potenziale bersaglio terapeutico. Le varianti di questo gene, coinvolto nei meccanismi di riparazione del DNA, possono compromettere il normale funzionamento delle cellule e favorire lo sviluppo di tumori. Lo studio di queste mutazioni ha aperto nuove possibilità di trattamento attraverso farmaci mirati come talazoparib, progettati per bloccare la replicazione delle cellule tumorali. La scoperta di mutazioni genetiche specifiche ha dimostrato come i fondi destinati alla ricerca genetica possano avere un impatto concreto sulla pratica clinica. La Fondazione Italiana per la Lotta al Neuroblastoma ha contribuito significativamente a questo progresso, sostenendo progetti di ricerca volti a identificare nuovi bersagli terapeutici nel trattamento del neuroblastoma.

<https://decripto.org/it/neuroblastoma-metastatico-bimba-senza-sintomi-da-32-mesi-dopo-trattamento-con-talazoparib-un-nuovo-farmaco/>

