

Progresso Eccitante Nel Mieloma: L'approvazione Della FDA Di Melfalan Flufenamide e Importanti Risultati Di Ricerca Pubblicati

4 Marzo 2021

Il 26 febbraio, la Food and Drug Administration (FDA) ha approvato melfalan flufenamide (Pepaxto®) in combinazione con desametasone per il trattamento del mieloma multiplo recidivo o refrattario nei pazienti che hanno ricevuto almeno quattro linee di terapia precedente, tra cui un IMiD, inibitore del proteasoma e anticorpo monoclonale diretto CD38.

Secondo [il numero di marzo 1, 2021 del Journal of Clinical Oncology](#), Pepaxto® è un agente di mostarda azotata di nuova generazione, un agente di prima classe valutato nello studio HORIZON di fase II. Lo studio ha coinvolto 157 pazienti e è concluso con un tasso di risposta globale del 29% e una PFS (sopravvivenza libera da progressione) di 8,5 mesi nei pazienti che hanno risposto.

Il profilo di sicurezza era accettabile e la conclusione dell'autore principale Dr. Paul Richardson è che Pepaxto è un nuovo importante trattamento per i pazienti per malattie recidivanti o refrattarie. I risultati vengono ulteriormente valutati nello studio randomizzato OCEAN, in cui i risultati vengono confrontati con pomalidomide più desametasone.

CONCLUSIONE: È bello avere un'altra opzione disponibile con un nuovo meccanismo d'azione unico. Aspettiamo impazientemente gli ulteriori studi con diverse combinazioni in contesti di malattia precedenti.

Pubblicato In NEJM: I Risultati Dello Studio Idecabtagene Vicleucel CAR T-Therapy

Il 28 febbraio, [i risultati dello studio ide-cel di fase II](#) in pazienti con mieloma refrattario sono stati pubblicati nel NEJM. In questo studio i pazienti sono stati trattati con cellule T (autologhe, cioè proprie) ingegnerizzate per indirizzare l'antigene di maturazione delle cellule B (BCMA) sulla superficie del mieloma. Su 140 pazienti arruolati, 128 hanno ricevuto un trattamento con ide-cel. Il tasso di risposta globale (OR) è stato del 73%, con il 33% che ha avuto una risposta completa (CR) e il 26% che ha raggiunto MRD negativo (malattia residua minima) al livello da 10 a -5.

I livelli ematici ridotti e la sindrome da rilascio di citochine (CRS) sono stati gli effetti tossici più comuni. Tuttavia, la CRS di grado 3 o superiore (grave) si è verificata solo nel 5% dei pazienti.

In generale, i risultati sono stati estremamente promettenti, con una durata mediana della risposta di 10,7 mesi, una sopravvivenza libera da progressione (PFS) di 8,8 mesi e una sopravvivenza globale di 19,4 mesi. I pazienti che hanno ottenuto una risposta completa o migliore hanno avuto una durata della risposta più lunga di 19 mesi.

La buona notizia è che circa un terzo dei pazienti ha ottenuto risposte significative nell'intervallo da uno a due anni o superiore, consentendo un'eccellente qualità della vita periodo di tempo libero da qualsiasi tipo di terapia anti-mieloma convenzionale-un vantaggio importante!

La terapia Ide-cel è attualmente in fase di revisione presso la FDA e le raccomandazioni riguardanti la possibile approvazione ufficiale saranno disponibili a fine mese.

Altri Articoli Pubblicati Recenti

- **Disregolazione immunitaria nel mieloma**

[Un'eccellente recensione sulla rivista Blood](#) con Kyehei Nakamura come primo autore fornisce una comprensione della complessità e della natura dinamica della risposta immunitaria nei pazienti con mieloma. Il sistema immunitario ospite (o normale) "agisce come un reostato che regola l'equilibrio tra dormienza e progressione della malattia", scrive. Ciascuna delle diverse cellule stromali (quelle che circondano il mieloma nel midollo osseo) hanno funzioni uniche nel modulare la crescita e la persistenza delle cellule del mieloma.

- **Risultati di deep MRD profiling**

Un importante articolo con un editoriale di accompagnamento su Blood sottolinea i diversi aspetti e il significato dei test MRD su pazienti con rischio standard mieloma rispetto a rischio più elevato. Raggiungere uno stato MRD negativo (al livello da 10 a -5 o superiore) è fondamentale per i pazienti con malattia ad alto rischio per migliorare massimamente le possibilità di un risultato migliore. I pazienti con malattia a rischio standard hanno maggiori probabilità di raggiungere uno stato MRD-negativo e beneficiare di un risultato molto migliorato in questo contesto.

- **Raccomandazioni su trattamento del IMWG Bone Working Group**

All'inizio di febbraio, le raccomandazioni sulla terapia ossea sono state pubblicate su Lancet Oncology. Questo importante aggiornamento include una discussione sul nuovo agente denosumab, un'alternativa ai bifosfonati come Aredia o Zometa. Vengono anche discussi la durata delle terapie ossee e il ruolo della radioterapia e della chirurgia.

Conclusione

È meraviglioso vedere la ricerca sul mieloma va avanti con l'approvazione di un altro nuovo agente e la potenziale approvazione di una prima terapia CAR T cell per il mieloma nel prossimo futuro. Nel frattempo, i pazienti devono rimanere forti e resilienti (guarda il [webinar del FMI Living Well sulla resilienza](#)) durante questo [MYELOMA ACTION MONTH](#).

Lavorare per migliorare la resilienza è sicuramente un obiettivo chiave in questi giorni. "La crisi durata un anno ha avuto un terribile impatto sulla salute mentale", scrive Melinda Wenner Moyer nell'attuale numero di Scientific American. "I metodi di coping basati sulla psicologia dei disastri e dei traumi possono aiutare. Moyer cita Mana Ali, psicologa del MedStar Rehabilitation Hospital: "Puoi sentirti spaventato e pauroso, arrabbiato e risentito e contemporaneamente essere un vincitore e resiliente." Se ti senti solo, l'articolo suggerisce, iscriviti a Caring Calls, un servizio non profit che facilita le conversazioni telefoniche settimanali, chiamando (212) 769-2850.

È importante che i pazienti vengano vaccinati per COVID-19 non appena possibile e che continuino a indossare una maschera e ad usare altre precauzioni. Si prega di notare che è ok ricevere qualsiasi vaccino sia disponibile per primo. Vaccinarsi è l'obiettivo chiave!

Statemi bene e state al sicuro.