

*Rassegna Stampa*  
*Preliminare*

## Rassegna stampa

**TUMORI: IL 45% DEI  
PAZIENTI HA  
MUTAZIONI CON  
FARMACI SPECIFICI A  
DISPOSIZIONE  
SERVONO PERCORSI  
STRUTTURATI PER  
FACILITARE  
L'ACCESSO ALLE  
NUOVE TERAPIE**

**Intermedia s.r.l.**  
per la comunicazione  
integrata

Via Lunga 16/A - Brescia

Via Monte delle Gioie 1  
Roma

29 maggio 2023

<https://www.panoramasanita.it/>

### Un minuto con... Carmine Pinto

30/05/2023 in Un minuto con...

Sono stati resi noti i dati del registro Rational (che contiene le evidenze relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese). Dai numeri appare evidente che il 45% dei pazienti coinvolti nello studio osservazionale multicentrico su cui si è basato, porta mutazioni con farmaci specifici a disposizione, ma che solo l'11% di loro riesce ad accedere alle terapie mirate disponibili. Ne abbiamo parlato con Carmine Pinto, Presidente Ficog sotto la cui egida è stato prodotto lo studio.



*"Lo studio che avete presentato è complesso e interessante. Un aspetto in particolare..."*

[Link al video](#)



29-05-2023  
LETTORI  
1.326.601

<https://www.ansa.it>

## **Tumori: 45% dei malati ha mutazioni con farmaci disponibili**

Studio su 730 pazienti italiani, ma solo 11% ottiene cura mirata

(ANSA) - ROMA, 29 MAG - Pubblicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di Rational (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 centri. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Ma solo l'11% di essi riesce ad ottenere le terapie. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della Ficog (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono pubblicati su European Journal of Cancer. Obiettivo dalla nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Ngs). Sono degli esami che "consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari - sottolinea Nicola Normanno, direttore del dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio -. Il loro utilizzo risulta però ancora basso, soprattutto quello dei test con 'pannelli ampi". E' molto interessante, sottolinea, "anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica". Dai dati emerge tuttavia una criticità: solo l'11% dei malati che ha ottenuto una profilazione genomica riesce poi a ricevere le terapie mirate disponibili. Questo "pone al centro un problema oggi sempre più rilevante - afferma Carmine Pinto, presidente Ficog - ovvero come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base di un'alterazione molecolare. E' necessaria un'indicazione di riferimento di Aifa. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata nella lotta ai molti tumori ed il sistema sanitario italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto - conclude - di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

## **Un paziente oncologico su due ha mutazioni con farmaci mirati**

Publicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio osservazionale multicentrico che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati, dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati recentemente pubblicati sulla rivista scientifica European Journal of Cancer. Obiettivo della nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o NGS). "Sono degli esami che consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea il prof. Nicola Normanno, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL-. Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari. E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica". Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche. Solo l'11%

dei malati, che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, riescono poi a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante – afferma il prof. Carmine Pinto, Presidente FICOG -. E' quella di come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco. Nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica. Si determinano così importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. E' necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA per l'accesso ai farmaci off label con prescrizione appropriata sulla base di test NGS e dopo valutazione del MTB istituzionale. La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci". "Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci – prosegue il prof. Normanno -. Anche per questo vogliamo dare seguito allo

studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico”. “La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private – conclude il prof. Pinto -. L’oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all’avanguardia anche in questo settore ma c’è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati”.

<https://www.agi.it/>

## **Il 45% dei pazienti oncologici ha mutazioni curabili con farmaci mirati**

Publicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio osservazionale multicentrico che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati, dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati recentemente pubblicati sulla rivista scientifica European Journal of Cancer. Obiettivo dalla nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o NGS). "Sono degli esami che consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea il prof. Nicola Normanno, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL-. Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari. E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica". Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche. Solo l'11% dei malati, che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, riescono poi a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante – afferma il prof. Carmine Pinto, Presidente FICOG -. E' quella di come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco. Nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica. Si determinano così importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. E' necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA per l'accesso ai farmaci off label con prescrizione appropriata sulla base di test NGS e dopo valutazione del MTB istituzionale. La bozza di

decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci”. “Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all’accesso ai farmaci – prosegue il prof. Normanno -. Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico”. “La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private – conclude il prof. Pinto -. L’oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all’avanguardia anche in questo settore ma c’è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati”.

<https://www.dire.it>

## **SALUTE. TUMORI, IL 45% DEI PAZIENTI HA SPECIFICHE MUTAZIONI**

### STUDIO CONDOTTO SOTTO EGIDA DELLA FICOG

(DIRE) Roma, 29 mag. - Pubblicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio osservazionale multicentrico che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati, dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati recentemente pubblicati sulla rivista scientifica European Journal of Cancer. Obiettivo della nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o NGS). "Sono degli esami che consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari- sottolinea il prof. Nicola Normanno, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL- Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari. E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche. Solo l'11% dei malati, che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, riescono poi a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante- afferma il prof. Carmine Pinto, Presidente FICOG- E' quella di come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco. Nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica. Si determinano così importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai

farmaci. E' necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA per l'accesso ai farmaci off label con prescrizione appropriata sulla base di test NGS e dopo valutazione del MTB istituzionale. La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci".

"Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci- prosegue il prof. Normanno- Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private- conclude il prof. Pinto- L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://www.repubblica.it>

## Tumori, 1 paziente su 2 ha una mutazione per cui esistono i farmaci

Publicati i dati del registro che coinvolge più di 730 malati di 44 diverse strutture sanitarie. Servono però una maggiore diffusione dei test genomici e maggiori collegamenti tra i centri che svolgono le sperimentazioni cliniche



Quanti sono i pazienti italiani che potrebbero essere curati con l'oncologia di precisione? Cioè con farmaci che colpiscono in maniera specifica mutazioni che contribuiscono allo sviluppo del tumore? Il 45%, cioè circa la metà. Così ci dicono i dati del Registro italiano delle mutazioni per cui esistono dei farmaci (The Italian Register of Actionable Mutations - RATIONAL) che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati pubblicati sulla rivista scientifica European Journal of Cancer.

### La diffusione dei test NGS

Per capire se i pazienti hanno queste mutazioni è necessario usare dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o NGS). Il Registro ha consentito anche di fotografare la situazione italiana rispetto al loro utilizzo. "Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari", sottolinea Nicola Normanno, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL. "È molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate a un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

## **L'accesso alle terapie**

Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche: fra tutti i malati che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, solo l'11% riesce a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante: garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco", afferma Carmine Pinto, Presidente FICOG. Infatti, nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) - può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. "Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica e si determinano importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. È necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA", prosegue Pinto. "La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci".

## **Un percorso uniforme**

"Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci - aggiunge Normanno. "Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private - conclude Pinto -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

## Tumori: il 45% dei pazienti ha mutazioni con farmaci specifici a disposizione, facilitare l'accesso alle cure



Pubblicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio osservazionale multicentrico che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati, dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati recentemente pubblicati sulla rivista scientifica *European Journal of Cancer*. Obiettivo dalla nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o NGS).

“Sono degli esami che consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea il prof. **Nicola Normanno**, direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL-. Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con “pannelli ampi” che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari. E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica”. Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche. Solo l'11% dei malati, che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, riescono poi a ricevere le terapie mirate disponibili.

“Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante – afferma il prof. **Carmin** **Pinto**, presidente FICOG -. E' quella di come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla

prescrizione del farmaco. Nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica. Si determinano così importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. E' necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA per l'accesso ai farmaci off label con prescrizione appropriata sulla base di test NGS e dopo valutazione del MTB istituzionale. La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci”.

“Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci – prosegue il prof. Normanno -. Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico”.

“La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private – conclude il prof. Pinto -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati”.

<https://www.medinews.it/>

## **TUMORI: IL 45% DEI PAZIENTI HA MUTAZIONI CON FARMACI SPECIFICI A DISPOSIZIONE SERVONO PERCORSI STRUTTURATI PER FACILITARE L'ACCESSO ALLE NUOVE TERAPIE**

Il prof. Nicola Normanno: “In Italia ancora basso l'utilizzo dei test NGS con “pannelli ampi” per un'analisi genomica approfondita di alcune neoplasie”. Il prof. Carmine Pinto: “Sempre più opportunità dall'oncologia di precisione ma sono necessari maggiori collegamenti tra i centri che svolgono le sperimentazioni cliniche”



29 maggio 2023 – Pubblicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio osservazionale multicentrico che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati, dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati recentemente pubblicati sulla rivista scientifica *European Journal of Cancer*. Obiettivo della nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (*Next Generation Sequencing o NGS*). “Sono degli esami che consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea il prof. **Nicola Normanno**, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL-. Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con “pannelli ampi” che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari. E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica”. Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche. Solo l'11%

dei malati, che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, riescono poi a ricevere le terapie mirate disponibili. “Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante – afferma il prof. **Carmino Pinto**, Presidente FICOG -. E’ quella di come garantire l’accesso ai farmaci off label sulla base sia di un’alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco. Nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) può governare l’impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica. Si determinano così importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l’accesso ai farmaci. E’ necessaria un’indicazione di riferimento di AIFA per l’accesso ai farmaci off label con prescrizione appropriata sulla base di test NGS e dopo valutazione del MTB istituzionale. La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci”. “Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all’accesso ai farmaci – prosegue il prof. **Normanno** -. Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico”. “La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private – conclude il prof. **Pinto** -. L’oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all’avanguardia anche in questo settore ma c’è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati”.

<https://www.lastampa.it/>

## Tumori, 1 paziente su 2 ha una mutazione per cui esistono i farmaci

Publicati i dati del registro che coinvolge più di 730 malati di 44 diverse strutture sanitarie. Servono però una maggiore diffusione dei test genomici e maggiori collegamenti tra i centri che svolgono le sperimentazioni cliniche



Quanti sono i pazienti italiani che potrebbero essere curati con l'oncologia di precisione? Cioè con farmaci che colpiscono in maniera specifica mutazioni che contribuiscono allo sviluppo del tumore? Il 45%, cioè circa la metà. Così ci dicono i dati del Registro italiano delle mutazioni per cui esistono dei farmaci (The Italian Register of Actionable Mutations - RATIONAL) che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati pubblicati sulla rivista scientifica European Journal of Cancer.

### La diffusione dei test NGS

Per capire se i pazienti hanno queste mutazioni è necessario usare dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o NGS). Il Registro ha consentito anche di fotografare la situazione italiana rispetto al loro utilizzo. "Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari", sottolinea Nicola Normanno, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL. "E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate a un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

## **L'accesso alle terapie**

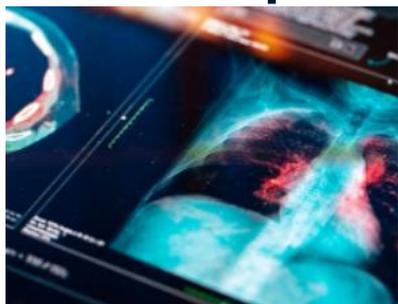
Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche: fra tutti i malati che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, solo l'11% riesce a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante: garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco", afferma Carmine Pinto, Presidente FICOG. Infatti, nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) - può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. "Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica e si determinano importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. È necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA", prosegue Pinto. "La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci".

## **Un percorso uniforme**

"Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci - aggiunge Normanno. "Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private - conclude Pinto -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://www.foce.online>

## Tumori: il 45% dei pazienti ha mutazioni con farmaci specifici a disposizione



Publicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio osservazionale multicentrico che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati, dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati recentemente pubblicati sulla rivista scientifica *European Journal of Cancer*. Obiettivo della nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (*Next Generation Sequencing* o *NGS*). "Sono degli esami che consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea il prof. **Nicola Normanno**, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL-. Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari. E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica". Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche. Solo l'11% dei malati, che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, riescono poi a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante – afferma il prof. **Carmine Pinto**, Presidente FICOG -. E' quella di come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco. Nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM

08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica. Si determinano così importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. E' necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA per l'accesso ai farmaci off label con prescrizione appropriata sulla base di test NGS e dopo valutazione del MTB istituzionale. La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci". "Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci – prosegue il prof. **Normanno** -. Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private – conclude il prof. **Pinto** -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://www.ilsecoloxix.it/>

## Tumori, 1 paziente su 2 ha una mutazione per cui esistono i farmaci

Publicati i dati del registro che coinvolge più di 730 malati di 44 diverse strutture sanitarie. Servono però una maggiore diffusione dei test genomici e maggiori collegamenti tra i centri che svolgono le sperimentazioni cliniche



Quanti sono i pazienti italiani che potrebbero essere curati con l'oncologia di precisione? Cioè con farmaci che colpiscono in maniera specifica mutazioni che contribuiscono allo sviluppo del tumore? Il 45%, cioè circa la metà. Così ci dicono i dati del Registro italiano delle mutazioni per cui esistono dei farmaci (The Italian Register of Actionable Mutations - RATIONAL) che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati pubblicati sulla rivista scientifica European Journal of Cancer.

### La diffusione dei test NGS

Per capire se i pazienti hanno queste mutazioni è necessario usare dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o NGS). Il Registro ha consentito anche di fotografare la situazione italiana rispetto al loro utilizzo. "Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari", sottolinea Nicola Normanno, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL. "E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate a un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

## **L'accesso alle terapie**

Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche: fra tutti i malati che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, solo l'11% riesce a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante: garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco", afferma Carmine Pinto, Presidente FICOG. Infatti, nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) - può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. "Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica e si determinano importanti diversità di comportamento e disequità regionali per l'accesso ai farmaci. È necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA", prosegue Pinto. "La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci".

## **Un percorso uniforme**

"Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile l'accesso ai farmaci - aggiunge Normanno. "Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private - conclude Pinto -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

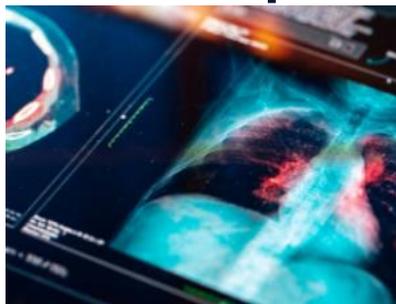
<https://www.notizie.today.it>



Quanti sono i pazienti italiani che potrebbero essere curati con l'oncologia di precisione? Cioè con farmaci che colpiscono in maniera specifica mutazioni che contribuiscono allo sviluppo del tumore? Il 45%, cioè circa la metà. Così ci dicono i dati del Registro italiano delle mutazioni per cui esistono dei farmaci (The Italian Register of Actionable Mutations - RATIONAL) che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono di...

<https://www.allenatoredisalute.eu/>

## Tumori: il 45% dei pazienti ha mutazioni con farmaci specifici a disposizione



Pubblicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio osservazionale multicentrico che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati, dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati recentemente pubblicati sulla rivista scientifica *European Journal of Cancer*. Obiettivo della nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (*Next Generation Sequencing o NGS*). "Sono degli esami che consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea il prof. **Nicola Normanno**, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslationale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL-. Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari. E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica". Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche. Solo l'11% dei malati, che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, riescono poi a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante – afferma il prof. **Carmine Pinto**, Presidente FICOG -. E' quella di come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare

actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco. Nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica. Si determinano così importanti diversità di comportamento e disequità regionali per l'accesso ai farmaci. E' necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA per l'accesso ai farmaci off label con prescrizione appropriata sulla base di test NGS e dopo valutazione del MTB istituzionale. La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci". "Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci – prosegue il prof. **Normanno** -. Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private – conclude il prof. **Pinto** -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://www.huffingtonpost.it/>

## Tumori, 1 paziente su 2 ha una mutazione per cui esistono i farmaci

Publicati i dati del registro che coinvolge più di 730 malati di 44 diverse strutture sanitarie. Servono però una maggiore diffusione dei test genomici e maggiori collegamenti tra i centri che svolgono le sperimentazioni cliniche



Quanti sono i pazienti italiani che potrebbero essere curati con l'oncologia di precisione? Cioè con farmaci che colpiscono in maniera specifica mutazioni che contribuiscono allo sviluppo del tumore? Il 45%, cioè circa la metà. Così ci dicono i dati del Registro italiano delle mutazioni per cui esistono dei farmaci (The Italian Register of Actionable Mutations - RATIONAL) che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati pubblicati sulla rivista scientifica *European Journal of Cancer*.

### La diffusione dei test NGS

Per capire se i pazienti hanno queste mutazioni è necessario usare dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o NGS). Il Registro ha consentito anche di fotografare la situazione italiana rispetto al loro utilizzo. "Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari", sottolinea Nicola Normanno, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL. "E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate a un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

## **L'accesso alle terapie**

Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche: fra tutti i malati che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, solo l'11% riesce a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante: garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco", afferma Carmine Pinto, Presidente FICOG. Infatti, nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) - può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. "Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica e si determinano importanti diversità di comportamento e disequità regionali per l'accesso ai farmaci. È necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA", prosegue Pinto. "La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci".

## **Un percorso uniforme**

"Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile l'accesso ai farmaci - aggiunge Normanno. "Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private - conclude Pinto -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://www.advfn.com>

## Sanita': il 45% dei malati oncologici ha mutazioni con farmaci disponibili

29 Maggio 2023 - 02:56PM

MF Dow Jones (Italiano)

 Stampa

 Tweet

 Share

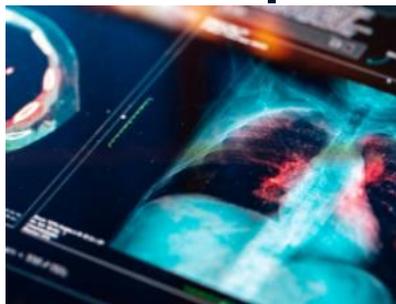
(Il Sole 24 Ore Radiocor Plus) - Roma, 29 mag - Il 45% dei malati oncologici possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano oppure in fase di sperimentazione. Sono i dati pubblicati dallo studio Rational che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri italiani. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della Ficog (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati pubblicati sulla rivista scientifica European Journal of Cancer. "Obiettivo dalla nuova indagine - spiega il responsabile dello studio, Nicola Normanno- è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o Ngs) che consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari".



29-05-2023  
Lettori  
2.886

<https://breastunit.info/news/>

## Tumori: il 45% dei pazienti ha mutazioni con farmaci specifici a disposizione



Publicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio osservazionale multicentrico che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati, dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati recentemente pubblicati sulla rivista scientifica *European Journal of Cancer*. Obiettivo della nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (*Next Generation Sequencing o NGS*). "Sono degli esami che consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea il prof. **Nicola Normanno**, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslationale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL-. Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari. E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica". Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche. Solo l'11% dei malati, che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, riescono poi a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante – afferma il prof. **Carmine Pinto**, Presidente FICOG -. E' quella di come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare

actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco. Nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica. Si determinano così importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. E' necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA per l'accesso ai farmaci off label con prescrizione appropriata sulla base di test NGS e dopo valutazione del MTB istituzionale. La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci". "Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci - prosegue il prof. **Normanno** -. Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private - conclude il prof. **Pinto** -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://messaggeroveneto.gelocal.it/udine/>

## Tumori, 1 paziente su 2 ha una mutazione per cui esistono i farmaci

Publicati i dati del registro che coinvolge più di 730 malati di 44 diverse strutture sanitarie. Servono però una maggiore diffusione dei test genomici e maggiori collegamenti tra i centri che svolgono le sperimentazioni cliniche



Quanti sono i pazienti italiani che potrebbero essere curati con l'oncologia di precisione? Cioè con farmaci che colpiscono in maniera specifica mutazioni che contribuiscono allo sviluppo del tumore? Il 45%, cioè circa la metà. Così ci dicono i dati del Registro italiano delle mutazioni per cui esistono dei farmaci (The Italian Register of Actionable Mutations - RATIONAL) che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati pubblicati sulla rivista scientifica European Journal of Cancer.

### La diffusione dei test NGS

Per capire se i pazienti hanno queste mutazioni è necessario usare dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o NGS). Il Registro ha consentito anche di fotografare la situazione italiana rispetto al loro utilizzo. "Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari", sottolinea Nicola Normanno, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL. "E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate a un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

## **L'accesso alle terapie**

Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche: fra tutti i malati che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, solo l'11% riesce a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante: garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco", afferma Carmine Pinto, Presidente FICOG. Infatti, nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) - può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. "Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica e si determinano importanti diversità di comportamento e disequità regionali per l'accesso ai farmaci. È necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA", prosegue Pinto. "La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci".

## **Un percorso uniforme**

"Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile l'accesso ai farmaci - aggiunge Normanno. "Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private - conclude Pinto -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://blog.libero.it/>

## Il 45% dei pazienti oncologici ha mutazioni con farmaci mirati disponibili



Pubblicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di Rational (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 centri. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Ma solo l'11% di essi riesce ad ottenere le terapie. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della Ficog (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono pubblicati su European Journal of Cancer.

Obiettivo dalla nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Ngs). Sono degli esami che "consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea Nicola Normanno, direttore del dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio -. Il loro utilizzo risulta però ancora basso, soprattutto quello dei test con 'pannelli ampi'".

E' molto interessante, sottolinea, "anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

Dai dati emerge tuttavia una criticità: solo l'11% dei malati che ha ottenuto una profilazione genomica riesce poi a ricevere le terapie mirate disponibili. Questo "pone al centro un problema oggi sempre più rilevante – afferma Carmine Pinto, presidente Ficog – ovvero come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base di un'alterazione molecolare. E' necessaria un'indicazione di riferimento di Aifa. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata nella lotta ai molti tumori ed il sistema sanitario italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto – conclude – di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://ciatnews.it/news>

## Tumori: il 45% dei pazienti ha mutazioni con farmaci specifici a disposizione

Publicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio osservazionale multicentrico che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati, dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati recentemente pubblicati sulla rivista scientifica *European Journal of Cancer*. Obiettivo dalla nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (*Next Generation Sequencing o NGS*). "Sono degli esami che consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea il prof. **Nicola Normanno**, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL-. Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari. E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica". Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche. Solo l'11% dei malati, che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, riescono poi a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante – afferma il prof. **Carmine Pinto**, Presidente FICOG -. E' quella di come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco. Nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica. Si determinano così importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. E' necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA per l'accesso ai farmaci off label con prescrizione appropriata sulla base di test NGS e dopo valutazione del MTB istituzionale. La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci". "Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci – prosegue il prof. **Normanno** -. Anche per questo vogliamo dare seguito allo

studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico”. “La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private – conclude il prof. **Pinto** -. L’oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all’avanguardia anche in questo settore ma c’è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati”.

<https://mattinopadova.it/>

## Tumori, 1 paziente su 2 ha una mutazione per cui esistono i farmaci

Publicati i dati del registro che coinvolge più di 730 malati di 44 diverse strutture sanitarie. Servono però una maggiore diffusione dei test genomici e maggiori collegamenti tra i centri che svolgono le sperimentazioni cliniche



Quanti sono i pazienti italiani che potrebbero essere curati con l'oncologia di precisione? Cioè con farmaci che colpiscono in maniera specifica mutazioni che contribuiscono allo sviluppo del tumore? Il 45%, cioè circa la metà. Così ci dicono i dati del Registro italiano delle mutazioni per cui esistono dei farmaci (The Italian Register of Actionable Mutations - RATIONAL) che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati pubblicati sulla rivista scientifica European Journal of Cancer.

### La diffusione dei test NGS

Per capire se i pazienti hanno queste mutazioni è necessario usare dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o NGS). Il Registro ha consentito anche di fotografare la situazione italiana rispetto al loro utilizzo. "Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari", sottolinea Nicola Normanno, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL. "E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate a un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

## **L'accesso alle terapie**

Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche: fra tutti i malati che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, solo l'11% riesce a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante: garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco", afferma Carmine Pinto, Presidente FICOG. Infatti, nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) - può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. "Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica e si determinano importanti diversità di comportamento e disequità regionali per l'accesso ai farmaci. È necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA", prosegue Pinto. "La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci".

## **Un percorso uniforme**

"Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile l'accesso ai farmaci - aggiunge Normanno. "Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private - conclude Pinto -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://www.dottnet.it/>

## Il 45% dei pazienti oncologici ha mutazioni con farmaci mirati disponibili



Ma solo l'11% di essi riesce ad ottenere le terapie. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della Ficog (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono pubblicati su European Journal of Cancer

Publicati per la prima volta i dati relativi **alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta** di Rational (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 centri. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Ma solo l'11% di essi riesce ad ottenere le terapie. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della Ficog (Federation of Italian Cooperative Oncology **Groups**) e **i risultati sono pubblicati su European Journal of Cancer.**

**Obiettivo dalla nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo** dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Ngs). Sono degli esami che "consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari - sottolinea Nicola Normanno, direttore del dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio -. Il loro utilizzo risulta però ancora basso, soprattutto **quello dei test con 'pannelli ampi'**".

**E' molto interessante**, sottolinea, "anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

Dai dati emerge tuttavia una criticità: solo **l'11% dei malati che ha ottenuto una profilazione genomica riesce poi a ricevere le terapie** mirate disponibili. Questo "pone al centro un problema oggi sempre più rilevante - afferma Carmine Pinto, presidente Ficog - ovvero come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base di un'alterazione molecolare. E' necessaria un'indicazione di riferimento di Aifa. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata nella lotta ai molti tumori ed il sistema sanitario italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto - conclude - di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://colangiocarcinoma.net>

## Tumori: il 45% dei pazienti ha mutazioni con farmaci specifici a disposizione



Pubblicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio osservazionale multicentrico che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati, dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati recentemente pubblicati sulla rivista scientifica *European Journal of Cancer*. Obiettivo della nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (*Next Generation Sequencing* o *NGS*). "Sono degli esami che consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea il prof. **Nicola Normanno**, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL-. Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari. E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica". Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche. Solo l'11% dei malati, che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, riescono poi a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante – afferma il prof. **Carmine Pinto**, Presidente FICOG -. E' quella di come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco. Nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. Con queste modalità di accesso

ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica. Si determinano così importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. E' necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA per l'accesso ai farmaci off label con prescrizione appropriata sulla base di test NGS e dopo valutazione del MTB istituzionale. La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci". "Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci – prosegue il prof. **Normanno** -. Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private – conclude il prof. **Pinto** -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://lanuovadiveneziaemestre.gelocal.it/>

## Tumori, 1 paziente su 2 ha una mutazione per cui esistono i farmaci

Publicati i dati del registro che coinvolge più di 730 malati di 44 diverse strutture sanitarie. Servono però una maggiore diffusione dei test genomici e maggiori collegamenti tra i centri che svolgono le sperimentazioni cliniche



Quanti sono i pazienti italiani che potrebbero essere curati con l'oncologia di precisione? Cioè con farmaci che colpiscono in maniera specifica mutazioni che contribuiscono allo sviluppo del tumore? Il 45%, cioè circa la metà. Così ci dicono i dati del Registro italiano delle mutazioni per cui esistono dei farmaci (The Italian Register of Actionable Mutations - RATIONAL) che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati pubblicati sulla rivista scientifica European Journal of Cancer.

### La diffusione dei test NGS

Per capire se i pazienti hanno queste mutazioni è necessario usare dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o NGS). Il Registro ha consentito anche di fotografare la situazione italiana rispetto al loro utilizzo. "Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari", sottolinea Nicola Normanno, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL. "E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate a un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

## **L'accesso alle terapie**

Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche: fra tutti i malati che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, solo l'11% riesce a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante: garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco", afferma Carmine Pinto, Presidente FICOG. Infatti, nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) - può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. "Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica e si determinano importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. È necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA", prosegue Pinto. "La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci".

## **Un percorso uniforme**

"Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci - aggiunge Normanno. "Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private - conclude Pinto -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://tuttonotizie.net>

## Il 45% dei pazienti oncologici ha mutazioni con farmaci mirati disponibili

Publicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di Rational (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 centri. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Ma solo l'11% di essi riesce ad ottenere le terapie. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della Ficog (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono pubblicati su European Journal of Cancer.

Obiettivo dalla nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Ngs). Sono degli esami che "consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea Nicola Normanno, direttore del dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio -. Il loro utilizzo risulta però ancora basso, soprattutto quello dei test con 'pannelli ampi'".

E' molto interessante, sottolinea, "anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

Dai dati emerge tuttavia una criticità: solo l'11% dei malati che ha ottenuto una profilazione genomica riesce poi a ricevere le terapie mirate disponibili. Questo "pone al centro un problema oggi sempre più rilevante – afferma Carmine Pinto, presidente Ficog – ovvero come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base di un'alterazione molecolare. E' necessaria un'indicazione di riferimento di Aifa. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata nella lotta ai molti tumori ed il sistema sanitario italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto – conclude – di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://comunicareilcancro.it/>

## Tumori: il 45% dei pazienti ha mutazioni con farmaci specifici a disposizione



Pubblicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio osservazionale multicentrico che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati, dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati recentemente pubblicati sulla rivista scientifica *European Journal of Cancer*. Obiettivo dalla nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (*Next Generation Sequencing o NGS*). "Sono degli esami che consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea il prof. **Nicola Normanno**, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL-. Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari. E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica". Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche. Solo l'11% dei malati, che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, riescono poi a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante – afferma il prof. **Carmine Pinto**, Presidente FICOG -. E' quella di come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco. Nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) può governare l'impiego off-label

dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica. Si determinano così importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. E' necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA per l'accesso ai farmaci off label con prescrizione appropriata sulla base di test NGS e dopo valutazione del MTB istituzionale. La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci". "Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci – prosegue il prof. **Normanno** -. Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private – conclude il prof. **Pinto** -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://www.latribunaditreviso.it>

## Tumori, 1 paziente su 2 ha una mutazione per cui esistono i farmaci

Publicati i dati del registro che coinvolge più di 730 malati di 44 diverse strutture sanitarie. Servono però una maggiore diffusione dei test genomici e maggiori collegamenti tra i centri che svolgono le sperimentazioni cliniche



Quanti sono i pazienti italiani che potrebbero essere curati con l'oncologia di precisione? Cioè con farmaci che colpiscono in maniera specifica mutazioni che contribuiscono allo sviluppo del tumore? Il 45%, cioè circa la metà. Così ci dicono i dati del Registro italiano delle mutazioni per cui esistono dei farmaci (The Italian Register of Actionable Mutations - RATIONAL) che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati pubblicati sulla rivista scientifica *European Journal of Cancer*.

### La diffusione dei test NGS

Per capire se i pazienti hanno queste mutazioni è necessario usare dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o NGS). Il Registro ha consentito anche di fotografare la situazione italiana rispetto al loro utilizzo. "Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari", sottolinea Nicola Normanno, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL. "E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate a un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

## **L'accesso alle terapie**

Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche: fra tutti i malati che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, solo l'11% riesce a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante: garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco", afferma Carmine Pinto, Presidente FICOG. Infatti, nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) - può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. "Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica e si determinano importanti diversità di comportamento e disequità regionali per l'accesso ai farmaci. È necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA", prosegue Pinto. "La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci".

## **Un percorso uniforme**

"Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile l'accesso ai farmaci - aggiunge Normanno. "Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private - conclude Pinto -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<http://libero.it/>

## Il 45% dei pazienti oncologici ha mutazioni con farmaci mirati disponibili



Pubblicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di Rational (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 centri. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Ma solo l'11% di essi riesce ad ottenere le terapie. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della Ficog (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono pubblicati su European Journal of Cancer.

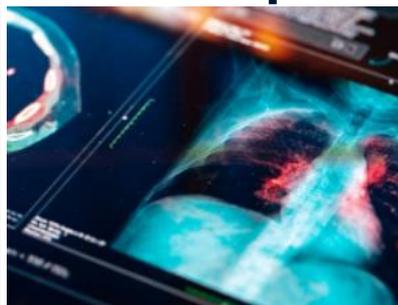
Obiettivo dalla nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Ngs). Sono degli esami che "consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea Nicola Normanno, direttore del dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio -. Il loro utilizzo risulta però ancora basso, soprattutto quello dei test con 'pannelli ampi'".

E' molto interessante, sottolinea, "anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

Dai dati emerge tuttavia una criticità: solo l'11% dei malati che ha ottenuto una profilazione genomica riesce poi a ricevere le terapie mirate disponibili. Questo "pone al centro un problema oggi sempre più rilevante – afferma Carmine Pinto, presidente Ficog – ovvero come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base di un'alterazione molecolare. E' necessaria un'indicazione di riferimento di Aifa. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata nella lotta ai molti tumori ed il sistema sanitario italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto – conclude – di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<http://fondazionemelanoma.org/>

## Tumori: il 45% dei pazienti ha mutazioni con farmaci specifici a disposizione



Pubblicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio osservazionale multicentrico che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati, dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati recentemente pubblicati sulla rivista scientifica *European Journal of Cancer*. Obiettivo della nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (*Next Generation Sequencing* o *NGS*). "Sono degli esami che consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea il prof. **Nicola Normanno**, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL-. Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari. E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica". Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche. Solo l'11% dei malati, che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, riescono poi a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante – afferma il prof. **Carmine Pinto**, Presidente FICOG -. E' quella di come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco. Nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non

negoziati) può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica. Si determinano così importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. E' necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA per l'accesso ai farmaci off label con prescrizione appropriata sulla base di test NGS e dopo valutazione del MTB istituzionale. La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci". "Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci – prosegue il prof. **Normanno** -. Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private – conclude il prof. **Pinto** -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://ilpiccolo.gelocal.it/>

## Tumori, 1 paziente su 2 ha una mutazione per cui esistono i farmaci

Publicati i dati del registro che coinvolge più di 730 malati di 44 diverse strutture sanitarie. Servono però una maggiore diffusione dei test genomici e maggiori collegamenti tra i centri che svolgono le sperimentazioni cliniche



Quanti sono i pazienti italiani che potrebbero essere curati con l'oncologia di precisione? Cioè con farmaci che colpiscono in maniera specifica mutazioni che contribuiscono allo sviluppo del tumore? Il 45%, cioè circa la metà. Così ci dicono i dati del Registro italiano delle mutazioni per cui esistono dei farmaci (The Italian Register of Actionable Mutations - RATIONAL) che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati pubblicati sulla rivista scientifica European Journal of Cancer.

### La diffusione dei test NGS

Per capire se i pazienti hanno queste mutazioni è necessario usare dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o NGS). Il Registro ha consentito anche di fotografare la situazione italiana rispetto al loro utilizzo. "Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari", sottolinea Nicola Normanno, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL. "E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate a un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

## **L'accesso alle terapie**

Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche: fra tutti i malati che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, solo l'11% riesce a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante: garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco", afferma Carmine Pinto, Presidente FICOG. Infatti, nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) - può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. "Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica e si determinano importanti diversità di comportamento e disequità regionali per l'accesso ai farmaci. È necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA", prosegue Pinto. "La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci".

## **Un percorso uniforme**

"Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile l'accesso ai farmaci - aggiunge Normanno. "Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private - conclude Pinto -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://gds.it/>

## Il 45% dei pazienti oncologici ha mutazioni con farmaci mirati disponibili



Publicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di Rational (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 centri. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Ma solo l'11% di essi riesce ad ottenere le terapie. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della Ficog (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono pubblicati su European Journal of Cancer.

Obiettivo dalla nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Ngs). Sono degli esami che "consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea Nicola Normanno, direttore del dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio -. Il loro utilizzo risulta però ancora basso, soprattutto quello dei test con 'pannelli ampi".

E' molto interessante, sottolinea, "anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

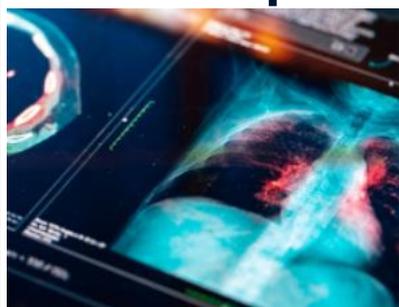
Dai dati emerge tuttavia una criticità: solo l'11% dei malati che ha ottenuto una profilazione genomica riesce poi a ricevere le terapie mirate disponibili. Questo "pone al centro un problema oggi sempre più rilevante – afferma Carmine Pinto, presidente Ficog – ovvero come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base di un'alterazione molecolare. E' necessaria un'indicazione di riferimento di Aifa. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata nella lotta ai molti tumori ed il sistema sanitario italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto – conclude – di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".



29-05-2023  
Lettori  
36.000

<https://lapellesicura.it/news>

## Tumori: il 45% dei pazienti ha mutazioni con farmaci specifici a disposizione



Pubblicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio osservazionale multicentrico che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati, dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati recentemente pubblicati sulla rivista scientifica *European Journal of Cancer*. Obiettivo della nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (*Next Generation Sequencing o NGS*). "Sono degli esami che consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea il prof. **Nicola Normanno**, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL-. Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari. E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica". Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche. Solo l'11% dei malati, che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, riescono poi a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante – afferma il prof. **Carmine Pinto**, Presidente FICOG -. E' quella di come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco. Nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM

07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica. Si determinano così importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. E' necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA per l'accesso ai farmaci off label con prescrizione appropriata sulla base di test NGS e dopo valutazione del MTB istituzionale. La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci". "Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci – prosegue il prof. **Normanno** -. Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private – conclude il prof. **Pinto** -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://gazzettadimantova.gelocal.it/mantova/>

## Tumori, 1 paziente su 2 ha una mutazione per cui esistono i farmaci

Publicati i dati del registro che coinvolge più di 730 malati di 44 diverse strutture sanitarie. Servono però una maggiore diffusione dei test genomici e maggiori collegamenti tra i centri che svolgono le sperimentazioni cliniche



Quanti sono i pazienti italiani che potrebbero essere curati con l'oncologia di precisione? Cioè con farmaci che colpiscono in maniera specifica mutazioni che contribuiscono allo sviluppo del tumore? Il 45%, cioè circa la metà. Così ci dicono i dati del Registro italiano delle mutazioni per cui esistono dei farmaci (The Italian Register of Actionable Mutations - RATIONAL) che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati pubblicati sulla rivista scientifica *European Journal of Cancer*.

### La diffusione dei test NGS

Per capire se i pazienti hanno queste mutazioni è necessario usare dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o NGS). Il Registro ha consentito anche di fotografare la situazione italiana rispetto al loro utilizzo. "Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari", sottolinea Nicola Normanno, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL. "E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate a un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

## **L'accesso alle terapie**

Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche: fra tutti i malati che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, solo l'11% riesce a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante: garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco", afferma Carmine Pinto, Presidente FICOG. Infatti, nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) - può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. "Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica e si determinano importanti diversità di comportamento e disequità regionali per l'accesso ai farmaci. È necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA", prosegue Pinto. "La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci".

## **Un percorso uniforme**

"Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile l'accesso ai farmaci - aggiunge Normanno. "Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private - conclude Pinto -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://www.gloobio.it/>

## Il 45% dei pazienti oncologici ha mutazioni con farmaci mirati disponibili



Pubblicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di Rational (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 centri. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Ma solo l'11% di essi riesce ad ottenere le terapie. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della Ficog (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono pubblicati su European Journal of Cancer.

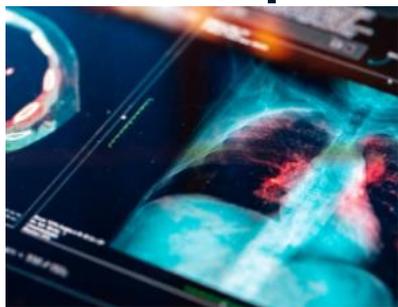
Obiettivo della nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Ngs). Sono degli esami che "consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea Nicola Normanno, direttore del dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio -. Il loro utilizzo risulta però ancora basso, soprattutto quello dei test con 'pannelli ampi".

E' molto interessante, sottolinea, "anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

Dai dati emerge tuttavia una criticità: solo l'11% dei malati che ha ottenuto una profilazione genomica riesce poi a ricevere le terapie mirate disponibili. Questo "pone al centro un problema oggi sempre più rilevante – afferma Carmine Pinto, presidente Ficog – ovvero come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base di un'alterazione molecolare. E' necessaria un'indicazione di riferimento di Aifa. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata nella lotta ai molti tumori ed il sistema sanitario italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto – conclude – di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://www.dammilcinque.eu/category/news/>

## Tumori: il 45% dei pazienti ha mutazioni con farmaci specifici a disposizione



Publicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio osservazionale multicentrico che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati, dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati recentemente pubblicati sulla rivista scientifica *European Journal of Cancer*. Obiettivo della nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (*Next Generation Sequencing o NGS*). "Sono degli esami che consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea il prof. **Nicola Normanno**, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL-. Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari. E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica". Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche. Solo l'11% dei malati, che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, riescono poi a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante – afferma il prof. **Carmine Pinto**, Presidente FICOG -. E' quella di come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco. Nessuna delle modalità attualmente utilizzabili,

quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica. Si determinano così importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. E' necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA per l'accesso ai farmaci off label con prescrizione appropriata sulla base di test NGS e dopo valutazione del MTB istituzionale. La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci". "Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci – prosegue il prof. **Normanno** -. Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private – conclude il prof. **Pinto** -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://laprovinciapavese>

## Tumori, 1 paziente su 2 ha una mutazione per cui esistono i farmaci

Publicati i dati del registro che coinvolge più di 730 malati di 44 diverse strutture sanitarie. Servono però una maggiore diffusione dei test genomici e maggiori collegamenti tra i centri che svolgono le sperimentazioni cliniche



Quanti sono i pazienti italiani che potrebbero essere curati con l'oncologia di precisione? Cioè con farmaci che colpiscono in maniera specifica mutazioni che contribuiscono allo sviluppo del tumore? Il 45%, cioè circa la metà. Così ci dicono i dati del Registro italiano delle mutazioni per cui esistono dei farmaci (The Italian Register of Actionable Mutations - RATIONAL) che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati pubblicati sulla rivista scientifica European Journal of Cancer.

### La diffusione dei test NGS

Per capire se i pazienti hanno queste mutazioni è necessario usare dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o NGS). Il Registro ha consentito anche di fotografare la situazione italiana rispetto al loro utilizzo. "Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari", sottolinea Nicola Normanno, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL. "E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate a un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

## **L'accesso alle terapie**

Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche: fra tutti i malati che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, solo l'11% riesce a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante: garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco", afferma Carmine Pinto, Presidente FICOG. Infatti, nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) - può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. "Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica e si determinano importanti diversità di comportamento e disequità regionali per l'accesso ai farmaci. È necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA", prosegue Pinto. "La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci".

## **Un percorso uniforme**

"Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile l'accesso ai farmaci - aggiunge Normanno. "Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private - conclude Pinto -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://italtimes.it>

## Tumori, 1 paziente su 2 ha una mutazione per cui esistono i farmaci



Quanti sono i pazienti italiani che potrebbero essere curati con l'oncologia di precisione? Cioè con farmaci che colpiscono in maniera specifica mutazioni che contribuiscono allo sviluppo del tumore? Il 45%, cioè circa la metà. Così ci dicono i dati del Registro italiano delle mutazioni per cui esistono dei farmaci (The Italian Register of Actionable Mutations – RATIONAL) che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati pubblicati sulla rivista scientifica European Journal of Cancer.

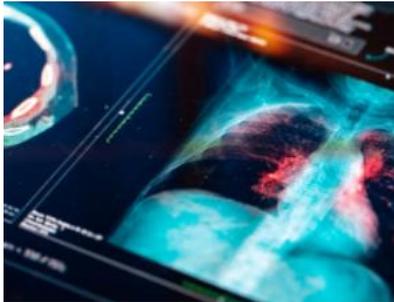
### La diffusione dei test NGS

Per capire se i pazienti hanno queste mutazioni è necessario usare dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o NGS). Il Registro ha consentito anche di fotografare la situazione italiana rispetto...

Continua a leggere su [Repubblica.it](https://www.repubblica.it)

<https://dirittoallobliotumori.org/>

## Tumori: il 45% dei pazienti ha mutazioni con farmaci specifici a disposizione



Publicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio osservazionale multicentrico che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati, dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati recentemente pubblicati sulla rivista scientifica *European Journal of Cancer*. Obiettivo dalla nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (*Next Generation Sequencing* o *NGS*). "Sono degli esami che consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea il prof. **Nicola Normanno**, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL-. Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari. E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica". Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche. Solo l'11% dei malati, che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, riescono poi a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante – afferma il prof. **Carmine Pinto**, Presidente FICOG -. E' quella di come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco. Nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) può governare l'impiego off-label

dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica. Si determinano così importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. E' necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA per l'accesso ai farmaci off label con prescrizione appropriata sulla base di test NGS e dopo valutazione del MTB istituzionale. La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci". "Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci – prosegue il prof. **Normanno** -. Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private – conclude il prof. **Pinto** -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://corrierealpi.com>

## Tumori, 1 paziente su 2 ha una mutazione per cui esistono i farmaci

Pubblicati i dati del registro che coinvolge più di 730 malati di 44 diverse strutture sanitarie. Servono però una maggiore diffusione dei test genomici e maggiori collegamenti tra i centri che svolgono le sperimentazioni cliniche



Quanti sono i pazienti italiani che potrebbero essere curati con l'oncologia di precisione? Cioè con farmaci che colpiscono in maniera specifica mutazioni che contribuiscono allo sviluppo del tumore? Il 45%, cioè circa la metà. Così ci dicono i dati del Registro italiano delle mutazioni per cui esistono dei farmaci (The Italian Register of Actionable Mutations - RATIONAL) che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati pubblicati sulla rivista scientifica European Journal of Cancer.

### La diffusione dei test NGS

Per capire se i pazienti hanno queste mutazioni è necessario usare dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o NGS). Il Registro ha consentito anche di fotografare la situazione italiana rispetto al loro utilizzo. "Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari", sottolinea Nicola Normanno, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL. "E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate a un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

## **L'accesso alle terapie**

Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche: fra tutti i malati che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, solo l'11% riesce a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante: garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco", afferma Carmine Pinto, Presidente FICOG. Infatti, nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) - può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. "Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica e si determinano importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. È necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA", prosegue Pinto. "La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci".

## **Un percorso uniforme**

"Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci - aggiunge Normanno. "Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private - conclude Pinto -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://www.mister-x.it/>



SALUTE  0

## Tumori, 1 paziente su 2 ha una mutazione per cui esistono i farmaci

Pubblicati i dati del registro che coinvolge più di 730 malati di 44 diverse strutture sanitarie. Servono però una ma

<https://testgenomicitumoreseno.org/>

## Tumori: il 45% dei pazienti ha mutazioni con farmaci specifici a disposizione



Publicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio osservazionale multicentrico che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati, dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati recentemente pubblicati sulla rivista scientifica *European Journal of Cancer*. Obiettivo dalla nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (*Next Generation Sequencing o NGS*). "Sono degli esami che consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea il prof. **Nicola Normanno**, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL-. Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari. E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica". Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche. Solo l'11% dei malati, che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, riescono poi a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante – afferma il prof. **Carmine Pinto**, Presidente FICOG -. E' quella di come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco. Nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) può governare l'impiego off-label

dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica. Si determinano così importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. E' necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA per l'accesso ai farmaci off label con prescrizione appropriata sulla base di test NGS e dopo valutazione del MTB istituzionale. La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci". "Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci – prosegue il prof. **Normanno** -. Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private – conclude il prof. **Pinto** -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://lasentinella.gelocal.it/>

## Tumori, 1 paziente su 2 ha una mutazione per cui esistono i farmaci

Publicati i dati del registro che coinvolge più di 730 malati di 44 diverse strutture sanitarie. Servono però una maggiore diffusione dei test genomici e maggiori collegamenti tra i centri che svolgono le sperimentazioni cliniche



Quanti sono i pazienti italiani che potrebbero essere curati con l'oncologia di precisione? Cioè con farmaci che colpiscono in maniera specifica mutazioni che contribuiscono allo sviluppo del tumore? Il 45%, cioè circa la metà. Così ci dicono i dati del Registro italiano delle mutazioni per cui esistono dei farmaci (The Italian Register of Actionable Mutations - RATIONAL) che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati pubblicati sulla rivista scientifica European Journal of Cancer.

### La diffusione dei test NGS

Per capire se i pazienti hanno queste mutazioni è necessario usare dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o NGS). Il Registro ha consentito anche di fotografare la situazione italiana rispetto al loro utilizzo. "Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari", sottolinea Nicola Normanno, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL. "E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate a un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

## **L'accesso alle terapie**

Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche: fra tutti i malati che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, solo l'11% riesce a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante: garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco", afferma Carmine Pinto, Presidente FICOG. Infatti, nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) - può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. "Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica e si determinano importanti diversità di comportamento e disequità regionali per l'accesso ai farmaci. È necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA", prosegue Pinto. "La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci".

## **Un percorso uniforme**

"Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile l'accesso ai farmaci - aggiunge Normanno. "Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private - conclude Pinto -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".



29-05-2023  
lettori  
34.000

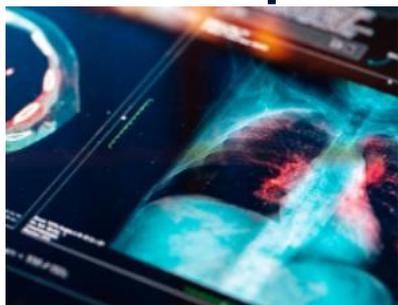
<https://www.zazoom.it/>

**Il 45% dei pazienti oncologici ha mutazioni con farmaci mirati disponibili**

Publicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. (ANSA) ...

<https://souloncology.com/>

## Tumori: il 45% dei pazienti ha mutazioni con farmaci specifici a disposizione



Publicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio osservazionale multicentrico che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati, dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati recentemente pubblicati sulla rivista scientifica *European Journal of Cancer*. Obiettivo della nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (*Next Generation Sequencing o NGS*). "Sono degli esami che consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea il prof. **Nicola Normanno**, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL-. Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari. E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica". Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche. Solo l'11% dei malati, che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, riescono poi a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante – afferma il prof. **Carmine Pinto**, Presidente FICOG -. E' quella di come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco. Nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) può

governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica. Si determinano così importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. E' necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA per l'accesso ai farmaci off label con prescrizione appropriata sulla base di test NGS e dopo valutazione del MTB istituzionale. La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci". "Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci – prosegue il prof. **Normanno** -. Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private – conclude il prof. **Pinto** -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://www.salute.eu/dossier/>

## Tumori, 1 paziente su 2 ha una mutazione per cui esistono i farmaci

Publicati i dati del registro che coinvolge più di 730 malati di 44 diverse strutture sanitarie. Servono però una maggiore diffusione dei test genomici e maggiori collegamenti tra i centri che svolgono le sperimentazioni cliniche



Quanti sono i pazienti italiani che potrebbero essere curati con l'oncologia di precisione? Cioè con farmaci che colpiscono in maniera specifica mutazioni che contribuiscono allo sviluppo del tumore? Il 45%, cioè circa la metà. Così ci dicono i dati del Registro italiano delle mutazioni per cui esistono dei farmaci (The Italian Register of Actionable Mutations - RATIONAL) che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati pubblicati sulla rivista scientifica *European Journal of Cancer*.

### La diffusione dei test NGS

Per capire se i pazienti hanno queste mutazioni è necessario usare dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o NGS). Il Registro ha consentito anche di fotografare la situazione italiana rispetto al loro utilizzo. "Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari", sottolinea Nicola Normanno, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL. "E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate a un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica".

## **L'accesso alle terapie**

Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche: fra tutti i malati che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, solo l'11% riesce a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante: garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco", afferma Carmine Pinto, Presidente FICOG. Infatti, nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) - può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. "Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica e si determinano importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. È necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA", prosegue Pinto. "La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci".

## **Un percorso uniforme**

"Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile l'accesso ai farmaci - aggiunge Normanno. "Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private - conclude Pinto -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://www.informazione.campania.it/>

---

[Il 45% dei pazienti oncologici ha mutazioni con farmaci mirati disponibili](http://www.ansa.it/canale_salutebenessere/notizie/salutebenessere_rs_s.xml)

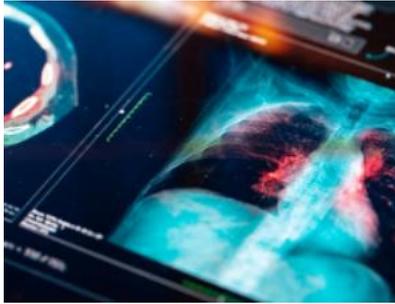
[http://www.ansa.it/canale\\_salutebenessere/notizie/salutebenessere\\_rs\\_s.xml](http://www.ansa.it/canale_salutebenessere/notizie/salutebenessere_rs_s.xml)

---



<https://www.tumorigenitourinari.net/>

## Tumori: il 45% dei pazienti ha mutazioni con farmaci specifici a disposizione



Pubblicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio osservazionale multicentrico che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati, dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati recentemente pubblicati sulla rivista scientifica *European Journal of Cancer*. Obiettivo della nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (*Next Generation Sequencing o NGS*). "Sono degli esami che consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea il prof. **Nicola Normanno**, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL-. Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari. E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica". Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche. Solo l'11% dei malati, che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, riescono poi a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante – afferma il prof. **Carmine Pinto**, Presidente FICOG -. E' quella di come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco. Nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non negoziati) può governare l'impiego off-label

dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica. Si determinano così importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. E' necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA per l'accesso ai farmaci off label con prescrizione appropriata sulla base di test NGS e dopo valutazione del MTB istituzionale. La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci". "Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci – prosegue il prof. **Normanno** -. Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private – conclude il prof. **Pinto** -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".

<https://sumailombardia.info/>

[Home](#) > [Sanità nazionale](#) > [ANSA](#) > [Il 45% dei pazienti oncologici ha mutazioni con farmaci mirati disponibili](#)

ANSA

## Il 45% dei pazienti oncologici ha mutazioni con farmaci mirati disponibili

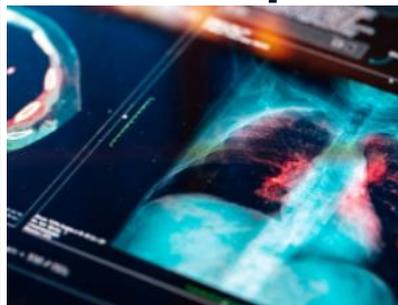
Di [ANSA.it](#) - 29 Maggio 2023

6 Visualizzazioni

Ma solo l'11% riesce ad ottenere le terapie

<https://festivaldei5colori.it/>

## Tumori: il 45% dei pazienti ha mutazioni con farmaci specifici a disposizione



Pubblicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio osservazionale multicentrico che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola. In totale il 45% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già approvati, dall'ente regolatorio italiano, oppure in fase di sperimentazione. Lo studio è stato condotto sotto l'egida della FICOG (Federation of Italian Cooperative Oncology Groups) e i risultati sono stati recentemente pubblicati sulla rivista scientifica *European Journal of Cancer*. Obiettivo della nuova indagine è anche quella di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (*Next Generation Sequencing* o *NGS*). "Sono degli esami che consentono una migliore identificazione di tutte le mutazioni di un tumore e che favoriscono pertanto l'accesso ai nuovi farmaci molecolari – sottolinea il prof. **Nicola Normanno**, Direttore del Dipartimento di Ricerca Traslazionale dell'Istituto Nazionale Tumori Fondazione G. Pascale di Napoli e responsabile scientifico dello studio RATIONAL-. Il loro utilizzo risulta ancora basso, soprattutto quello dei test con "pannelli ampi" che abbiamo invece offerto ad alcuni pazienti arruolati nel nostro studio. I dati raccolti risultano in linea con quelli di altri Paesi europei e ribadiscono l'estrema eterogeneità biologica di alcune patologie come il carcinoma polmonare o quello della mammella, del pancreas o delle vie biliari. E' molto interessante anche l'aver identificato la presenza di mutazioni che possono essere tendenzialmente associate ad un rischio di determinate neoplasie. Da queste è possibile avviare un'attività preventiva sottoponendo i familiari del malato a test genetici in grado di evidenziare il possibile sviluppo di una patologia oncologica". Dai dati raccolti per RATIONAL emergono inoltre alcune problematiche. Solo l'11% dei malati, che hanno ottenuto una profilazione genomica approfondita, riescono poi a ricevere le terapie mirate disponibili. "Questo pone al centro una problematica oggi sempre più rilevante – afferma il prof. **Carmine Pinto**, Presidente FICOG -. E' quella di come garantire l'accesso ai farmaci off label sulla base sia di un'alterazione molecolare actionable, evidenziata in NGS, che della successiva valutazione del Molecular Tumor Board (MTB) istituzionale che ha dato indicazione alla prescrizione del farmaco. Nessuna delle modalità attualmente utilizzabili, quali la Legge 648/96, la Legge 326/2003 art. 48 (fondo del 5%), il DM 08/05/2003 (uso compassionevole), il DM 07/09/2017 (uso terapeutico) e la Classe Cnn (farmaci fascia C, non

negoziati) può governare l'impiego off-label dei farmaci come richiesto dalla profilazione genomica. Con queste modalità di accesso ai farmaci off label le attuali tempistiche non sono compatibili con la pratica clinica. Si determinano così importanti diversità di comportamento e diseguità regionali per l'accesso ai farmaci. E' necessaria un'indicazione di riferimento di AIFA per l'accesso ai farmaci off label con prescrizione appropriata sulla base di test NGS e dopo valutazione del MTB istituzionale. La bozza di decreto ministeriale sui MTB attualmente in discussione interviene su questa tematica, ma richiede una migliore definizione e chiarezza sui livelli di evidenza e le modalità di accesso ai farmaci". "Per tutti questi motivi è necessario stabilire un percorso strutturato, e uniforme per tutti i pazienti, che faciliti il più possibile all'accesso ai farmaci – prosegue il prof. **Normanno** -. Anche per questo vogliamo dare seguito allo studio con più approfondite ricerche e il Registro va ampliato coinvolgendo più pazienti, raccogliendo nuovi dati ed offrendo anche la possibilità di accesso ai farmaci ai pazienti con mutazioni per le quali è possibile un intervento terapeutico". "La realizzazione di RATIONAL è un esempio positivo della collaborazione che si può instaurare tra i centri accademici pubblici e le aziende private – conclude il prof. **Pinto** -. L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari. Il sistema sanitario nazionale italiano può essere all'avanguardia anche in questo settore ma c'è bisogno al più presto di nuove regole per migliorare le prospettive dei malati".



29-05-2023  
Lettori

<https://www.cimop.it/>

- Il 45% dei pazienti oncologici ha mutazioni curabili con i farmaci mirati disponibili 29 Maggio 2023  
Ma solo l'11% riesce ad ottenere le terapie

 MediNews  
1 post · 0

Publicati per la prima volta i dati relativi alle mutazioni genetiche dei pazienti oncologici curati nel nostro Paese. Si tratta di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations) e si basa su uno studio osservazionale multicentrico che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola.

In totale il 43% dei malati possiede delle specifiche mutazioni per le quali sono disponibili farmaci già ap... Altro...



 Il Ritratto della Salute  
Azzurro · 0

Lo studio RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations), condotto sotto l'egide della [FICOG Federation of Italian Cooperative Oncology Groups](#) e pubblicato sulla rivista scientifica [European Journal of Cancer](#), ha l'obiettivo di fotografare la situazione italiana rispetto all'utilizzo dei test di sequenziamento genetico di nuova generazione (Next Generation Sequencing o NGS).  
Clicca qui per approfondire: <https://www.mednews.it/.../tumori-il-43-dei-pazienti-ha-...> Altro...



7 min · 🌐

Sono stati da poco pubblicati sulla rivista scientifica European Journal of Cancer i risultati di RATIONAL (The Italian Register of Actionable Mutations), uno studio osservazionale multicentrico condotto sotto l'egida di FICOG che ha coinvolto oltre 730 uomini e donne, colpiti da diverse forme di cancro, in cura presso 44 diversi centri della Penisola.

Scopri i dettagli: <https://www.medinevs.it/.../tumori-il-45-dei-pazienti-ha.../.../Altro...>

**«L'oncologia di precisione è ormai una realtà consolidata e imprescindibile nella lotta ai molti tumori: da alcuni tra i più diffusi fino a quelli rari».**

**Carmine Pinto | Presidente FICOG**



👍 Mi piace

💬 Commenta

➦ Condividi

👤 Scrivi un commento...



Salute.Eu · Segui

1 h · 🌐

Publicati i dati del registro che coinvolge più di 730 malati di 44 diverse strutture sanitarie. Servono però una maggiore diffusione dei test genomici e maggiori collegamenti tra i centri che svolgono le sperimentazioni cliniche



REPUBBLICA.IT

**Tumori. 1 paziente su 2 ha una mutazione per cui esistono i farmaci**

Publicati i dati del registro che coinvolge più di 730 malati di 44 diverse strutture sanitarie. Se...

👍 3

👍 Mi piace

💬 Commenta

➦ Condividi

👤 Scrivi un commento...

SaluteFuturo - Segui  
43 min · 🌐



ANSA.IT  
Il 45% dei pazienti oncologici ha mutazioni con farmaci mirati disponibili - Salute & Benessere

👍 Mi piace    💬 Commenta    ➦ Condividi    ⋮

👤 Scrivi un commento...

gloo.it - Segui  
1 h · 🌐

Il 45% dei pazienti oncologici ha mutazioni con farmaci mirati disponibili  
leggi su Gloo  
<https://www.gloo.it/il-45-dei-pazienti-oncologici-ha/>  
#gloo #accidentatore



👍 Mi piace    💬 Commenta    ➦ Condividi    ⋮

👤 Scrivi un commento...

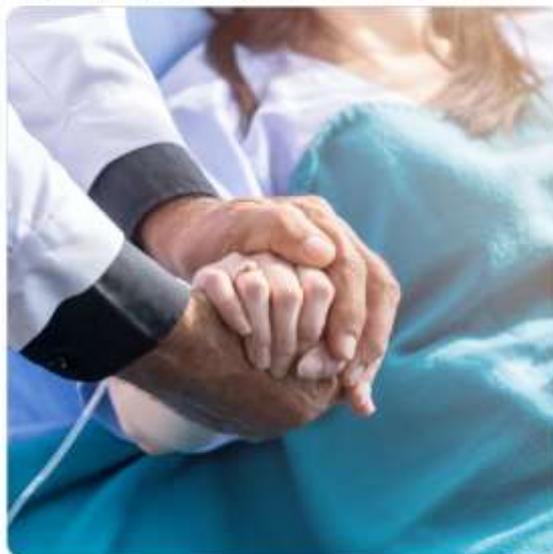


29-05-2023



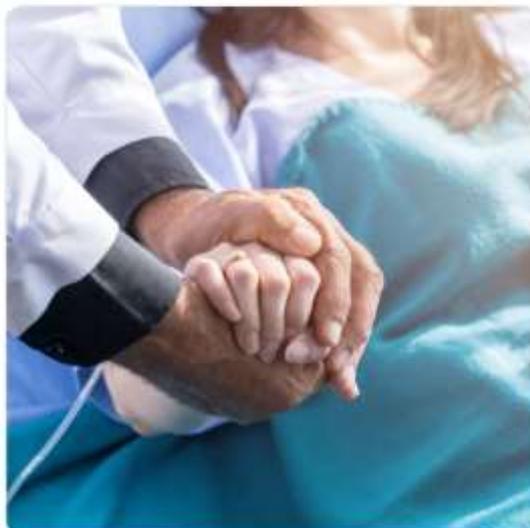
Medinews @Medinews\_ · 1m

#Tumori: Il 45% dei #pazienti ha #mutazioni con #farmaci specifici. A disposizione servono percorsi strutturati per facilitare l'accesso alle nuove #terapie. Approfondisci qui: [medinews.it/comunicati/tum...](https://medinews.it/comunicati/tum...)



RitrattodellaSalute @ritrattosalute · 3m

Il prof. Nicola Normanno: "In #Italia ancora basso l'utilizzo dei #testNGS con "pannelli ampi" per un'analisi #genomica approfondita di alcune #neoplasie". Leggi l'articolo qui: [medinews.it/comunicati/tum...](https://medinews.it/comunicati/tum...)





gfoo.it @gfooit · 20m

**Il 45% dei pazienti oncologici ha mutazioni con farmaci mirati disponibili**

leggi su Gioo

[gfoo.it/it-45-dei-pazi...](https://gfoo.it/it-45-dei-pazi...)

#gfoo #ecosistemaonline

