



# Newsletter N° 69 Luglio 2017

A.I.G. Associazione Italiana Gist  
uniticontrolglist

Grazie per esserti iscritto alla nostra Newsletter

Cari Tutti, con immenso piacere comunichiamo la formazione del nuovo Comitato Direttivo A.I.G. , eletto durante la giornata del Convegno Nazionale tenutosi a Bologna il 13 Maggio scorso.

Presidente : Barbara Tamagni  
Vice Presidente : Cecilia Cappelletti  
Consiglieri:  
Irene Diamantakis  
Luigi Nava  
Alberto Tusa  
Fiammetta Paloschi  
Vania Sarich

Continueremo, uniti a voi tutti, la lotta contro il GIST sulle orme dell'immensa eredità lasciata dai precedenti Comitati Direttivi. Saremo come sempre impegnati nella forte campagna di sensibilizzazione di questo tumore raro, in prima linea ad incoraggiare la ricerca, battendoci in favore dell'umanizzazione delle cure, al centro il paziente ed i suoi diritti.

Ringraziamo con enorme affetto Giovanni Sammartinaro e Gabriella Tedone per il lavoro svolto sino ad oggi, due grandi amici che hanno contribuito in maniera decisiva alla crescita di A.I.G. Uniti contro il GIST! Questo il nostro slogan!

Il comitato direttivo

---

## Open Day GIST Palermo 25 Febbraio 2017

L'ex rimessa di villa Niscemi, riutilizzata come spartana sala-conferenze, ha ospitato l'Open Day Gist di Palermo (25 febbraio 2017) in un clima di grande cordialità. I partecipanti, pazienti e amici, provenienti da diverse città della Sicilia hanno avuto l'opportunità di un autentico incontro con i medici che, scevri da ogni sussiego accademico, hanno reso accessibili le loro competenze per rafforzare l'alleanza terapeutica indispensabile per affrontare la malattia oncologica e il GIST in particolare. Trattandosi di una patologia rara , anche se trattata chirurgicamente, deve quasi sempre essere accompagnata dalla terapia farmacologica e da una dieta appropriata solo un paziente consapevole ed un ambiente familiare solidale possono permettere che la cura venga condotta in modo adeguato. Dopo il saluto della presidente A.I.G. Barbara Tamagni che ha confermato l'impegno dell'associazione perché nessun paziente debba restare mai solo, il prof. Badalamenti ha illustrato lo stato dell'arte.  
CONTINUA .....

## Covvegno Nazionale A.I.G Bologna 13 Maggio 2017

Si è tenuto a Bologna lo scorso 13/05 il convegno Nazionale di A.I.G. che ancora una volta, oltre che alla partecipazione di pazienti e famigliari, ha potuto contare sulla partecipazione di un discreto numero di esponenti della comunità scientifica; i lavori sono stati aperti come consuetudine con il saluto del Presidente di A.I.G. Barbara Tamagni e con quello del Professore Ordinario Dipartimento di Medicina Specialistica, Diagnostica e Sperimentale Guido Biasco. Il primo intervento è stato quello del Prof. Casali della Fondazione IRCCS INT il quale ha fatto un breve cenno all'istituzione della Rete Tumori Rari, della quale si sente ormai parlare da alcuni anni e pare che ormai si sia veramente vicini all'evento.

La rete porterà innegabilmente benefici a tutti i livelli: partendo dai pazienti per arrivare agli specialisti passando attraverso i medici di famiglia che spesso sono i primi a doversi confrontarsi con patologie molto poco conosciute; con la creazione della Rete sarà finalmente possibile un interscambio di comunicazioni ed informazioni molto importante non solo per la cura, ma anche per la ricerca. CONTINUA

## L'Immunoterapia nei GIST

Report dell'intervento della Dott.ssa Maria Abbondanza Pantaleo Professoressa associata Dipartimento di Medicina Specialistica, Diagnostica e Sperimentale in occasione del Convegno Nazionale di AIG, svoltosi il 13 maggio 2017

Una domanda che sempre più spesso pongono i pazienti di Gist durante le visite di controllo è: "Ma l'immunoterapia serve anche a me?"

Per poter rispondere a questa domanda, cerchiamo innanzitutto di comprendere che cosa si intende per immunoterapia e come funziona.

L'immunoterapia in oncologia è l'insieme delle terapie (farmaci), non necessariamente un singolo principio attivo, il cui scopo è quello di attivare o potenziare le difese immunitarie, inducendo così una risposta contro il tumore. CONTINUA....

## Glivec e Imatinib Generico

Fino allo scorso gennaio 2017, il farmaco Glivec veniva prodotto e commercializzato da un'unica casa farmaceutica la Novartis Farma s.p.a., proprietaria sia del brevetto molecolare (principio attivo Imatinib mesilato) che terapeutico (es.: leucemia mieloide cronica, trattamento adiuvante nei pazienti Gist, trattamento nei pazienti metastatici o non operabili Gist, ecc.)

Essendo venuto a scadenza, ad inizio di quest'anno, il primo brevetto cioè quello molecolare, sono stati introdotti, anche in Italia, farmaci cosiddetti "equivalenti" o "generici", prodotti da altre case farmaceutiche, che continuano comunque a dover essere prescritti dai centri ospedalieri o da determinati medici specialisti (es. oncologi).

Il farmaco generico di un medicinale di marca deve sottostare al principio legislativo secondo cui oltre ad avere lo stesso principio attivo deve essere bioequivalente: deve cioè possedere le stesse capacità curative, liberare le stesse quantità di farmaco nel tempo e raggiungere le stesse concentrazioni ematiche rispetto al farmaco di marca con uno scarto che non può essere superiore al 20% in meno o in più; non altrettanto nette sono le specifiche sulla percentuale e tipologia degli eccipienti usati.

Poiché il brevetto terapeutico, cd. di "uso medico" di proprietà della Novartis scadrà soltanto nel 2021, sarà possibile fino a tale data, richiedere la prescrizione del farmaco originale, l'unico che può riportare l'indicazione terapeutica Gist.

La molecola di Imatinib mesilato è, quindi, già caduta in libera concorrenza ma per l'uso della stessa nel Gist è ancora attivo il diritto esclusivo di Novartis fino a gennaio 2021. Ci preme, quindi, come Associazione sottolineare che, ad oggi, tutti i pazienti Gist hanno diritto ad avere il Glivec originale, così come si legge nella comunicazione AIFA del 19/12/16 ad A.I.G. indirizzata; ciò non certo perché si consideri Imatinib generico in qualche modo inferiore rispetto all'originale ma perché curarsi con Glivec è un diritto del paziente legislativamente tutelato e che vogliamo sia rispettato ed attuato.

## Asco 2017. Notizie dal mondo scientifico internazionale.

Come ogni anno, dal 2 al 6 Giugno, si è svolto a Chicago il meeting dell'American Society of Clinical Oncology (ASCO) che si conferma come l'appuntamento più importante per la comunità oncologica mondiale, con la partecipazione di oltre 30.000 studiosi e la presentazione di più di 2000 studi scientifici. Sono stati affrontati temi rilevanti relativi a tutti gli ambiti dell'assistenza ai pazienti oncologici, dalla clinica alla sostenibilità, dalla innovazione all'accessibilità delle cure .

I GIST anche quest'anno sono stati oggetto di varie presentazioni, che hanno evidenziato l'interesse da parte della comunità medica per questa rara patologia ed una sessione scientifica parallela è stata dedicata interamente ai GIST.

Riepiloghiamo di seguito alcuni dei più significativi studi clinici sui GIST presentati. CONTINUA....

## Approfondimento Studio Clinico . BLU-285 (Blueprint Medicines )

Di Margherita Nannini, MD

Department of Specialized, Experimental and Diagnostic Medicine, Sant'Orsola-Malpighi Hospital, University of Bologna

Nonostante che imatinib, sunitinib e, più recentemente, regorafenib abbiano enormemente modificato la storia naturale dei GIST, la resistenza primaria e secondaria rappresenta ancora adesso un tema molto caldo nell'ambito della ricerca farmacologica di questa rara malattia. A tal proposito una delle molecole più promettenti che si sta affacciando nello scenario terapeutico dei GIST resistenti è BLU-285 (Blueprint Medicines), una piccola molecola orale selettivamente attiva in modelli preclinici contro le cellule mutate a carico dell'esone 17 di KIT e dell'esone 18 di PDGFRA (D842V), entrambi eventi molecolari cruciali nella biologia dei GIST. Infatti, come è ormai noto, per i pazienti con GIST portatori della mutazione D842V di PDGFRA non sono ad oggi disponibili terapie attive, mentre la mutazione all'esone 17 di KIT rappresenta uno dei meccanismi noti di resistenza secondaria alla base della progressione di malattia. Grazie al suo duplice meccanismo d'azione, BLU-285 è stato subito oggetto di studi, diventando il protagonista di uno studio di fase 1 (NCT02508532), condotto su 40 pazienti (21 PDGFRA mutati e 19 KIT mutati) trattati con la molecola al dosaggio crescente di 30-600mg, i cui risultati molto promettenti sono stati presentati all'ASCO di quest'anno (MC Heinrich et al, abstract 11011). Infatti dei 17 pazienti con GIST D842V mutate, 7 hanno ottenuto una risposta parziale e 10 una stabilità di malattia, mentre degli 11 pazienti KIT mutati valutabili trattati con una dose > a 135mg/die, 2 hanno avuto una risposta parziale e 5 una stabilità di malattia. La maggior parte degli eventi avversi registrati sono stati la nausea, l'astenia, gli edemi periferici e periorbitari, il vomito, la diarrea, e l'anemia, tutti di grado 1-2. Un dato interessante è che al momento dell'analisi tutti i pazienti con la mutazione D842V erano ancora in trattamento. Alla luce dei promettenti risultati, lo sviluppo di questo farmaco in studi di fase III su casistiche più numerose andrà di certo avanti.

## La terapia è partecipazione

Primo Forum internazionale dedicato ai diritti dei pazienti.  
16 e il 17 maggio 2017 presso la sede dell'Università degli Studi di  
Milano.

Si è svolto a Milano un importante incontro internazionale interamente dedicato all'Empowerment dei pazienti oncologici, primo evento con questo scopo promosso e ospitato dall'Università degli Studi in collaborazione con la Fondazione Umberto Veronesi. Un'occasione per invitare i medici a individuare la strategia migliore per coinvolgere i pazienti nell'intero percorso medico, dalla diagnosi alla terapia. Il termine anglosassone empowerment, che non ha una traduzione specifica, ha il significato di Condivisione e coinvolgimento attivo dei pazienti in tutto ciò che riguarda la salute, dal processo decisionale clinico alle politiche di sanità pubblica nell'era dell'oncologia personalizzata. Questo è uno degli obiettivi di lavoro di AIG, così come di molte associazioni di pazienti e riflette un sentire comune: i cittadini non devono restare ai margini delle decisioni.

Il concetto di patient empowerment, coniato e sviluppatosi negli Stati Uniti a partire dagli anni '70, si pone oggi come riferimento imprescindibile e unificante delle politiche a livello globale: la partecipazione dei pazienti ai processi decisionali è uno dei valori fondamentali su cui si basa la pianificazione delle nuove strategie sanitarie dell'UE.

Reputiamo importante che questo primo Forum sia stato indirizzato a livello europeo ai medici ed operatori sanitari, uomini politici, legislatori e regolatori, organizzazioni internazionali, organismi governativi e aziende farmaceutiche. E' indicativo di un nuovo modo di concepire la sanità nel mondo della medicina che prende atto e riconosce i diritti dei malati, dei suoi familiari e delle organizzazioni che li rappresentano.

Il programma dei due giorni di forum è stato fittissimo e difficile da riassumere in tutti i suoi temi. Ci preme sottolineare la presenza del Prof. Paolo C. Casali, in veste di dirigente di ESMO, coordinatore della JARC (il programma di ricerca scientifica sui tumori rari in Europa) e responsabile della Struttura Complessa di Oncologia Medica dei Tumori Mesenchimali dell'Adulto e Tumori rari dell'Istituto Tumori di Milano.

L'incontro ha affrontato, da diversi punti di vista, il tema del paziente come nucleo centrale di ogni intervento sanitario, nella convinzione che solo da questa prospettiva si possa fare buona sanità, buona ricerca e buona formazione. Una vera "medicina della persona" deve lavorare per individuare i profili genomici e le terapie corrette, ma non può non tener conto del fatto che se ogni tumore è diverso dall'altro, ogni persona malata lo è da ogni altra. Questo è il nucleo della relazione tra pazienti e medici.

Gli organizzatori e i relatori hanno risposto a molti quesiti aperti sul coinvolgimento attivo dei malati da parte di chi li cura e sull'atteggiamento da promuovere tra i clinici per una sanità migliore.

Da dove è nata l'idea di riservare due giorni allo sviluppo del rapporto medico-paziente?

I pazienti oggi sono più informati e desiderosi di essere coinvolti nelle scelte terapeutiche. Questo discorso riguarda tutti i campi della medicina, ma in particolare l'oncologia: in questo ambito i nodi del processo decisionale appaiono più evidenti e determinano la salute futura del paziente.

Cosa vuol dire mettere il paziente al centro del processo decisionale?

Il messaggio rappresenta l'eredità di Umberto Veronesi che diceva: "E' più difficile eradicare la malattia dalla testa che non dal corpo dei pazienti." Questo grande medico da sempre si è distinto per il suo impegno a favore del paziente affinché questi venisse prima di tutto considerato una persona e poi un destinatario di cure. Era solito dire di porre al centro del sistema di cura i bisogni, non soltanto clinici, del malato anche per favorirne il processo di cura.

Oggi, quando si intraprende un percorso di cura, occorre condividerlo con la persona che si ha di fronte, a prescindere dal sesso, età e conoscenze in campo medico. Comunicare è fondamentale, anche perché sempre più spesso dal cancro si guarisce

Come deve cambiare l'approccio dei medici verso i pazienti?

L'atteggiamento paternalistico dell'oncologo nei confronti del paziente non va più bene. Il paziente merita di essere considerato nella sua individualità e lo specialista deve considerare il confronto con lui come un'opportunità. E' necessario creare un rapporto meno subordinato. E' giusto rispettare il bagaglio di conoscenze dei medici, ma è anche giusto che essi non si risentano di fronte ad un paziente informato che vuole capire e condividere il suo percorso di cura. Ogni persona malata ha scelto di mettere la propria vita nelle loro mani e questo non si dovrebbe mai dimenticare.

Troppo spesso, tuttavia, il "patient empowerment" resta ancora relegato a una dichiarazione di intenti e raramente tradotto nella prassi medica e sanitaria quotidiana. Questo primo forum internazionale non risolverà i problemi, non potrà modificare il modo di pensare e di agire di ancora parte del mondo medico, ma ha sicuramente avuto il vantaggio di affrontare un tema rivoluzionario come il coinvolgimento attivo del paziente oncologico sia dal punto di vista terapeutico sia da quello di relazione con i medici.

Per questo il forum ha divulgato il "Patto per l'empowerment", con la richiesta ufficiale alla comunità scientifica, medica, agli operatori sanitari, all'industria, alle autorità politiche e regolatorie di adoperarsi concretamente affinché la centralità della persona malata e della sua dignità sia alla base di ogni intervento di ricerca, di formazione e di cura dei pazienti con tumore.

A loro volta, i malati e le Associazioni che li rappresentano sono chiamati ad essere più coinvolti in ogni aspetto della salute, dal rimodellamento della sperimentazione clinica alla legislazione e in tutte le questioni che li riguardano in prima persona, compresa quella della gestione dei dati genetici, al centro dei nuovi protocolli della medicina personalizzata. Come Associazione continueremo ad impegnarci perché questi concetti non restino solo una speranza, ma si realizzino concretamente affinché la centralità della persona malata sia alla base di ogni intervento di ricerca, di formazione e di cura dei pazienti con tumore. Aggiungi corpo del testo

---

L' A.I.G. Associazione Italiana GIST Onlus

è un'organizzazione no-profit nata nel giugno del 2006 dal contributo volontario dei malati di GIST, con lo scopo di aggiornare e sostenere i propri associati, incoraggiare e promuovere la ricerca, sensibilizzare l'opinione pubblica.

[www.gistonline.it](http://www.gistonline.it)

