

Notizie Sul Mieloma: Dall'Islanda Alla Cina

Febbraio 09, 2023

Questa settimana ci sono molte meravigliose notizie relative al mieloma che meritano di essere condivise. Dall'Islanda alla Cina, ecco i momenti salienti.

Il progetto islandese iStopMM pubblicato su "Nature Medicine"

Ci sono ottime notizie per il progetto iStopMM (Iceland Screens Treats or Prevents Multiple Myeloma) supportato dall'IMF in Islanda, guidato dal ricercatore principale Dr. Sigurdur Y. Kristinsson (professore di ematologia, Università dell'Islanda — Reykjavík, Islanda).

Un nuovo rapporto che documenta per la prima volta la prevalenza (occorrenza) del mieloma smoldering (SMM) in una popolazione sottoposta a screening è stato appena pubblicato sulla prestigiosa rivista mensile, [Nature Medicine](#)

Questo è molto importante sia per il progetto iStopMM che per la comunità del mieloma in generale.

Come notato dall'autore principale dello studio, Sigrún Thorsteinsdóttir (Università dell'Islanda - Reykjavík, Islanda): "Siamo orgogliosi di segnalare la prevalenza del mieloma multiplo smoldering (SMM)... È importante sottolineare che, sebbene due terzi dei pazienti abbiano un basso -rischio di progressione verso il mieloma multiplo, mostriamo in questo studio di screening che lo screening può identificare [il resto o un terzo dei] possibili candidati per il trattamento precoce... [e potenziali approcci curativi]".

Alta Prevalenza Inaspettata

Uno dei principali punti di forza dello studio iStopMM è la possibilità di esaminare oltre 75.000 individui della popolazione islandese. La prevalenza di SMM era dello 0,5% tra le persone di età pari o superiore a 40 anni, più di quanto previsto. La prevalenza è aumentata con l'età, con l'1,1% tra

quelli di età pari o superiore a 70 anni e l'1,6% tra quelli di età pari o superiore a 80 anni. L'età media delle persone con diagnosi di SMM è di 70 anni, in linea con i rapporti precedenti.

È notevole che tutti i pazienti SMM in questa coorte sottoposta a screening avevano > 10 per cento di plasmacellule nel midollo osseo. Questo può essere l'indicatore chiave della malattia oltre lo stadio della gammopatia monoclonale di significato indeterminato (MGUS), una scoperta importante poiché esiste una tale discordanza nei modelli di rischio clinico 20/20/20 e PETHEMA (Programa para el Tratamiento de Hemopatías Malignas) per SM.

Gli autori vogliono sottolineare che il progetto iStopMM ha prodotto risultati molto incoraggianti, dimostrando il valore dello screening della popolazione. Tuttavia, qualsiasi raccomandazione forte per implementare uno screening sistematico per MGUS e SMM deve attendere i risultati dello studio randomizzato che valuta la sopravvivenza e la qualità della vita.

Inoltre, abbiamo bisogno di migliori strategie orientate alla biologia per valutare meglio il rischio di progressione per i singoli pazienti.

Conclusione

Tuttavia, c'è un grande ottimismo sul fatto che molti nuovi approcci innovativi emergeranno e porteranno a risultati migliori per le persone sottoposte a screening, in particolare quelle con SMM ad alto rischio. Come era evidente nei rapporti di ASH, molti altri progetti sono in corso in iStopMM e sono previste numerose pubblicazioni aggiuntive nei prossimi mesi. Tempi entusiasmanti, davvero, per questo progetto di proiezione unico.

Il Prodotto Cinese CAR T (GC012F) Riceve L'Approvazione Della FDA Per L'Applicazione IND

In un comunicato stampa, Gracell Biotechnologies ha fatto un recente importante annuncio di aver ricevuto l'autorizzazione per la sua applicazione Investigational New Drug (IND) dalla Food and Drug Administration (FDA) statunitense per iniziare una sperimentazione

clinica di Fase 1b/2 per il trattamento della recidiva mieloma multiplo refrattario (RRMM).

"GC012F è un candidato terapeutico CAR-T autologo a doppio targeting antigene di maturazione delle cellule B (BCMA) e CD19 e utilizza la piattaforma di produzione il giorno successivo FasTCAR proprietaria di Gracell... sicurezza ed efficacia nella RRMM, nel mieloma multiplo di nuova diagnosi e nel linfoma non-Hodgkin a cellule B. All'European Hematology Association 2022 Hybrid Congress, Gracell ha presentato dati clinici di follow-up a lungo termine di GC012F in RRMM che hanno mostrato un tasso di negatività della malattia minima residua (MRD) del 100% in tutti i pazienti trattati", secondo il comunicato stampa di Gracell.

GC012F è un approccio CAR T unico sviluppato ed è già stato testato in Cina. Va notato che GC012F ha ricevuto [Orphan Drug Designation](#) dalla FDA nel novembre 2021.

GC012F bersaglia simultaneamente l'agente di maturazione delle cellule B (BCMA) e un altro antigene, CD 19. Il BCMA è ampiamente espresso sulle cellule del mieloma ed è preso di mira da molte altre terapie immunitarie.

CD19 espresso su cellule più immature. La speranza è che questo includa le cellule più vicine alle cellule staminali del mieloma o all'origine del clone del mieloma.

Inoltre, questo candidato CAR T autologo utilizza FasTCAR, un processo di produzione il giorno successivo sviluppato dall'azienda. La rapida disponibilità di questo prodotto CAR T è uno sviluppo molto entusiasmante e accelererà l'accesso per i pazienti.

La comunità del mieloma è venuta a conoscenza di questa terapia CAR T durante l'incontro annuale dell'American Society of Hematology del 2022, di cui ho discusso nel mio blog precedente e nella serie di conferenze post-ASH. I risultati dello studio sui pazienti con mieloma ad alto rischio in prima linea sono stati presentati da Juan Du, MD, PhD, Direttore del Dipartimento di Ematologia, Changzheng Hospital della Naval Medical University di Shanghai, Cina. Il Dr. Juan Du è anche un investigatore dell'International Myeloma Working Group (IMWG) e un membro del Comitato per le Immune Therapies dell'IMF.

Il prodotto si è rivelato ben tollerato nella coorte iniziale di 17 pazienti, con il 100% che ha raggiunto la negatività MRD: un risultato davvero

notevole! Questo studio continua ad espandersi mentre il team attende l'approvazione da parte della FDA in Cina.

Conclusione

Questo è un nuovo approccio CAR T incoraggiante. Si attendono con impazienza ulteriori sviluppi sia in Cina che negli Stati Uniti.