



Assegnazione risorse 5xmille campagna 2020

Progetto: CHALLENGE for Rare Tumors (CHART)

I pazienti con diagnosi di tumore raro sperimentano un alto carico di problemi e necessità che non sono attualmente soddisfatti. La definizione internazionale di tumori rari considera un'incidenza di 6 o meno casi ogni 100.000 persone all'anno. L'incidenza complessiva dei tumori solidi rari negli adulti è di circa il 15% di tutti i nuovi casi di neoplasia maligna.

Dal gennaio 2022, lo IOV è stato riconosciuto centro di eccellenza all'interno della rete europea EuraCAN che comprende diversi tumori rari, incluso il glioblastoma, il tumore del testicolo e i sarcomi dei tessuti molli e dell'osso. Lo IOV è nelle condizioni di diventare un centro leader all'interno del panorama nazionale.

L'alta complessità di queste malattie dipende non solo dalla loro bassa frequenza globale, ma anche all'eterogeneità all'interno dello stesso gruppo di malattia rara, che comporta un rallentamento dell'iter diagnostico e approccio terapeutico.

Inoltre, questi tumori hanno una maggiore prevalenza negli adolescenti e nei giovani adulti che potrebbero richiedere un trattamento integrato, con un conseguente impatto sulla qualità di vita a medio e lungo termine, incluso il problema della fertilità e della sterilità.

L'iniziativa CHART dello IOV propone di favorire la creazione di gruppi di ricerca multidisciplinare per affrontare la sfida degli studi sperimentali e traslazionali sui tumori rari. Questi gruppi dovrebbero includere patologi, chirurghi, oncologi, radioterapisti, biologi, bioinformatici e radiologi.

Questi obiettivi sono in linea con il "Piano Nazionale di Ripresa e Resilienza – Sanità", che aprirà un bando per la selezione di progetti di ricerca competitivi da finanziare nel campo dei tumori rari.

Gli obiettivi di CHART sono diversi:

- 1.** Promuovere nuovi studi per identificare strategie terapeutiche innovative, inclusa l'immunoterapia attiva e passiva, consentendo così l'accesso ad approcci efficaci, al fine di migliorare la sopravvivenza e la qualità della vita.
- 2.** Identificare biomarcatori come fattori prognostici e predittivi dell'efficacia del trattamento e per consentire il monitoraggio della malattia residua minima.
- 3.** Partecipare a studi clinici nazionali e internazionali per arruolare un numero sufficiente di pazienti.



Regione del Veneto
Istituto Oncologico Veneto
Istituto di Ricovero e Cura a Carattere Scientifico



REGIONE DEL VENETO

4. Esplorare attraverso un'ampia profilazione genetica la presenza di rare mutazioni driver, che potrebbero guidare il riutilizzo di farmaci già disponibili.
5. Sviluppare modelli specifici del tumore raro e convalidare la loro capacità di supportare la rapida traslazione a studi clinici (inclusi, a titolo esemplificativo ma non esaustivo, organoidi, iPSC, modelli murini geneticamente modificati, topi umanizzati e saggi ex vivo su biopsie tumorali).
6. Sviluppare nuove piattaforme per consentire la condivisione di dati, campioni biologici e altre risorse da mettere a disposizione della comunità scientifica (es. archivio di tessuti tumorali con annotazione clinica, banche dati centralizzate, registro dei pazienti con struttura dati comune, modelli di ricerca e studi longitudinali di storia e risposta al trattamento).
7. Analisi del microambiente tumorale come predittore per la risposta alla terapia, con particolare attenzione agli ostacoli intrinseci verso l'immunoterapia.

Considerando la particolarità e rarità di questi tumori, CHART richiederà un'innovazione sia tecnologica che concettuale. Il primo aspetto sarà supportato dal progresso nell'analisi su singole cellule, per l'espressione di proteine e geni, e dall'utilizzo della "digital pathology" per approfondire le reti cellulari e molecolari. Per il secondo, gli studi clinici dovrebbero sfruttare precocemente nuovi agenti terapeutici, nel contesto neoadiuvante, per capire come questi agenti possono alterare il tumore, ridurre il rischio di recidiva e fornire ai pazienti una sopravvivenza libera da malattia più lunga. Inoltre, sarà fondamentale perseguire un cogente razionale biologico e molecolare per gli studi osservazionali promossi istituzionalmente.