

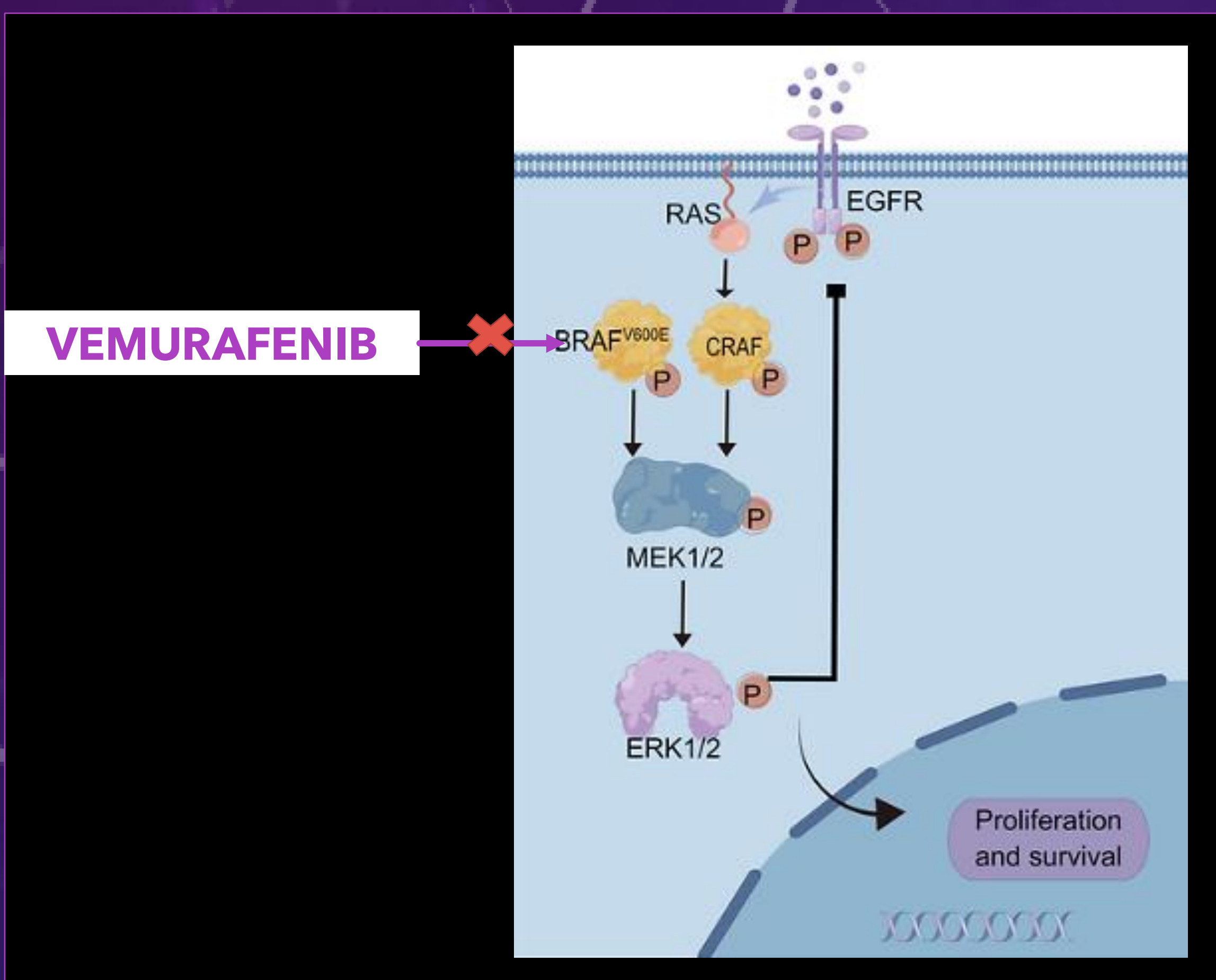
CASE REPORT: VEMURAFENIB IN REGIME OFF-LABEL E RADIOTERAPIA PER IL TRATTAMENTO DI UN PAZIENTE AFFETTO DA SARCOMA ISTIOCITICO REFRATTARIO BRAF MUTATO

De Lazzari E (1), Basso M (1), Russi A (1), Zorzetto G (1), Saran C (1), Coppola M (1)

1) Farmacia, Istituto Oncologico Veneto IOV-IRCCS, Padova-Castelfranco Veneto

OBIETTIVO

Valutare l'efficacia e la sicurezza del trattamento in regime off-label di un paziente affetto da sarcoma istiocitico refrattario con mutazione BRAF V600E e revisione della casistica in letteratura.



INTRODUZIONE

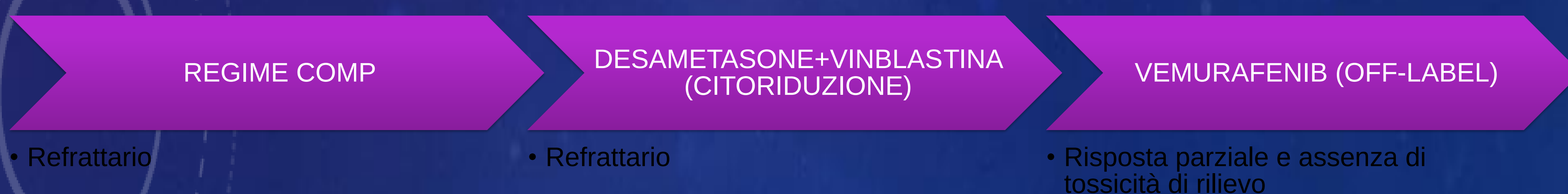
Il sarcoma istiocitico è una neoplasia rara, spesso refrattaria alla chemioterapia, con prognosi infausta. Un paziente di 81 anni con diagnosi di dicembre 2022, localizzazioni sovra-, sotto-diaframmatiche e ossee è stato trattato in prima linea secondo regime COMP dimostrando refrattarietà. Per la presenza di una voluminosa massa bulky sottomandibolare con sintomi da compressione vascolare, è stata tentata una citoriduzione con desametasone e vinblastina senza beneficio clinico. In considerazione della presenza della mutazione di BRAF V600E è stato considerato un approccio di target therapy.

METODI

L'analisi è stata effettuata estraendo ed analizzando le informazioni riportate nella Piattaforma Servizi Farmaceutici della Regione Veneto per gli usi off-label (REFOL), oltre a quelle contenute nella cartella clinica in uso presso l'istituto, dopo condivisione con i clinici referenti. Ad integrazione è stata effettuata un'analisi della letteratura.

RISULTATI

All'avvio della terapia con vemurafenib agli esami ematochimici si rilevava anemia, i restanti parametri nei limiti. Ad una mese di terapia il paziente manifestava riduzione iniziale della massa bulky e beneficio sui sintomi. In considerazione della voluminosità della lesione sottomandibolare, si proponeva di combinare un approccio radioterapico localizzato. Alla rivalutazione strumentale a 4 mesi si evidenziava risposta parziale. Il paziente ha successivamente manifestato un progressivo declino cognitivo in assenza di un quadro di progressione di malattia. Il paziente ha completato 6 cicli di trattamento con una PFS e OS di 10 mesi in assenza di tossicità di rilievo.



DISCUSSIONE E CONCLUSIONI

L'analisi del caso ha confermato la fattibilità e il beneficio, in particolare sui sintomi, di un approccio di terapia target in regime off-label, combinato alla radioterapia, in un paziente con una forma di sarcoma chemiorefrattario. Anche la tolleranza al trattamento è stata buona in un paziente anziano, seppure in assenza di comorbidità severe. In letteratura sono descritti rari casi con mutazione BRAF V600E, in uno il trattamento con vemurafenib ha portato risultati sovrapponibili.[1] Saranno necessarie ulteriori valutazioni e in coorti di pazienti più ampie per verificare il profilo di rischio e beneficio in questa patologia.

BIBLIOGRAFIA

[1] Branco B, et al. Targeted therapy of BRAF V600E-mutant histiocytic sarcoma: A case report and review of the literature. Eur J Haematol. 2019 Oct;103(4):444-448.