

COMUNICATO STAMPA

TUMORI RARI: SERVONO PARI OPPORTUNITA' PER I PAZIENTI E NUOVE REGOLE PER LA RICERCA

I massimi esperti al mondo di sarcomi, riuniti allo IEO insieme alle associazioni dei pazienti, lanciano un appello alla comunità medico scientifica, alle autorità competenti e all'industria farmaceutica

Milano, 8 ottobre 2026 – Essere colpiti da un tumore raro non deve significare avere minori opportunità di accedere alla ricerca, all'innovazione e a nuovi farmaci. È il messaggio lanciato dalla comunità internazionale di top scientist e pazienti di leiomiomasarcoma, riunita il 2 e 3 ottobre all'Istituto Europeo di Oncologia di Milano per la Tavola Rotonda **Addressing the Unanswered Questions in leiomiomasarcoma**.

Patologi, chirurghi, radiologi, radioterapisti, oncologi medici, ricercatori di base e traslazionali, esperti di genomica, metodologia e analisi dei dati, provenienti da alcuni dei principali centri oncologici e universitari del mondo, hanno lavorato insieme alla **National Leiomyosarcoma Foundation (NLMSF)** e al **Sarcoma Patients Advocacy Global Network (SPAGN)** per definire progetti e azioni condivise.

Il leiomiomasarcoma, considerando complessivamente tutte le sedi di origine, è uno dei sottotipi istologici più frequenti dei sarcomi dei tessuti molli e ne rappresenta circa il 10–20%. Rimane tuttavia una malattia rara, con un'incidenza complessiva inferiore a un caso ogni 100.000 persone per anno.

La rarità ha conseguenze dirette sulla cura e sulla ricerca. Ogni singolo centro tratta numeri limitati di pazienti, l'arruolamento negli studi clinici è lento e non è sempre possibile condurre grandi studi randomizzati secondo i modelli tradizionalmente utilizzati per i tumori più frequenti. Anche l'interesse commerciale e gli investimenti nello sviluppo di nuovi farmaci possono essere inferiori, con il risultato che i progressi terapeutici sono spesso più lenti.

«Un paziente con un tumore raro non deve essere discriminato nell'accesso all'innovazione rispetto a chi è colpito da un tumore più frequente», afferma **Roberta Sanfilippo, Direttrice dell'Unità Clinica Sarcomi dell'Istituto Europeo di Oncologia e responsabile scientifica dell'iniziativa**. «Non possiamo pretendere di applicare meccanicamente alle malattie rare gli stessi modelli di ricerca utilizzati per tumori che interessano centinaia di migliaia di persone. Dobbiamo mantenere il rigore scientifico, ma costruire percorsi di sviluppo e di valutazione adeguati alla rarità della malattia».

Tre priorità per superare gli ostacoli della rarità

La prima priorità individuata dagli esperti è unire i dati clinici raccolti nei centri internazionali di riferimento. Anche dati armonizzati di elevata qualità non possono sostituire automaticamente gli studi randomizzati, ma possono descrivere meglio la storia naturale della malattia e identificare sottogruppi biologici e prognostici.

La seconda priorità è aprire un dialogo strutturato con le autorità regolatorie. La valutazione di nuovi trattamenti per i tumori rari deve poter utilizzare disegni sperimentali innovativi, evidenze integrate e strumenti statistici adeguati alle piccole popolazioni.

La terza priorità è un maggiore coinvolgimento dell'industria farmaceutica. La comunità scientifica e le associazioni dei pazienti chiedono alle aziende di investire maggiormente nei sarcomi e di includere più sistematicamente le persone con tumori rari nei programmi di sviluppo dei nuovi farmaci.

«Servono dati migliori, nuove metodologie e un confronto precoce tra ricercatori, associazioni, industria e autorità regolatorie», prosegue **Sanfilippo**. «Accettare un percorso differente non significa accettare prove di qualità inferiore, ma piuttosto costruire il percorso più rigoroso possibile per una popolazione nella quale i grandi numeri, semplicemente, non esistono».

Leiomiomasarcoma uterino: una diagnosi spesso inattesa

Un'attenzione particolare è stata dedicata al leiomiomasarcoma uterino, che colpisce ogni anno circa 5–6 donne per milione.

I fibromi uterini sono estremamente comuni, mentre il leiomiomasarcoma è molto raro. Nonostante i progressi dell'imaging, non sempre è possibile distinguere con certezza le due condizioni prima dell'intervento. Per questo, una parte delle pazienti riceve la diagnosi soltanto dopo un'operazione eseguita per quello che appariva essere un fibroma.

Il rischio che dietro un presunto fibroma sintomatico si nasconda un leiomiomasarcoma è basso e le stime disponibili sono molto variabili. Tuttavia, quando la diagnosi arriva in modo inatteso, la paziente può trovarsi improvvisamente ad affrontare una malattia rara senza sapere a quale centro rivolgersi e quale percorso seguire.

Il messaggio per le pazienti e per i medici è quindi quello di richiedere il coinvolgimento tempestivo di un centro di riferimento per i sarcomi, nel quale la diagnosi possa essere valutata da un patologo esperto e il caso discusso da un gruppo multidisciplinare.

Un progetto internazionale per stimare il rischio della singola paziente

Anche dopo l'asportazione completa di un leiomiomasarcoma uterino localizzato, manca uno strumento clinico ampiamente validato e applicabile, capace di stimare il rischio individuale di recidiva nel tempo.

Per rispondere a questa necessità è stato presentato alla tavola rotonda il progetto internazionale **di costruzione di un nomogramma per i leiomiomasarcomi dell'utero in fase localizzata**. Il primo obiettivo è costruire una banca dati retrospettiva internazionale attraverso l'unione e l'armonizzazione dei dati provenienti dai centri partecipanti.

«Ci siamo seduti intorno allo stesso tavolo non soltanto per descrivere i problemi, ma per decidere come affrontarli. La rarità non può più essere una giustificazione per procedere più lentamente. Deve diventare la ragione per collaborare di più e in modo diverso» conclude Sanfilippo.

Ufficio stampa

Donata Francese: donata.francese@dfpress.it - 3356150331