Informacja prasowa 07.11.2023 r.

**Instytut Matki i Dziecka prowadzi przełomowe badanie kliniczne nad nowoczesną metodą leczenia mięsaka Ewinga**

**Klinika Onkologii IMiD rozpoczęła projekt BUTTERFLY – niekomercyjne badanie kliniczne oceniające skuteczność zastosowania naksytamabu. To nowoczesna metoda terapii mięsaka Ewinga. Celem badania jest poprawa diagnostyki oraz leczenia dzieci chorych na oporną i nawrotową postać tego nowotworu. Do programu kwalifikowani są pacjenci między 2 a 21 rokiem życia, u których dotychczasowe postępowanie medyczne nie przyniosło oczekiwanych rezultatów. Pierwszy z nich – dwunastoletni Jakub – został poddany immunoterapii 25 października.**

Mięsak Ewinga to nowotwór złośliwy, drugi wśród najczęściej występujących guzów kości u dzieci i młodych dorosłych. Rozwija się przeważnie w kościach, takich jak kość udowa, miednica czy żebra, ale może pojawić się również w tkankach miękkich – np. w tkance mięśniowej. Szczyt zachorowań przypada pomiędzy 15 a 19 r.ż., choć często problem dotyczy również młodszych dzieci. Niestety, w momencie diagnozy u ponad połowy pacjentów występują również zmiany przerzutowe. Dlatego ważne jest szybkie rozpoznanie i wdrożenie odpowiedniego leczenia. Jednak z niepowodzeniem terapii mierzy się około 20-30% pacjentów – aby zminimalizować ten odsetek Instytut Matki i Dziecka rozpoczął projekt BUTTERFLY, badanie nad nowoczesną metodą leczenia dla chorych na mięsaka Ewinga[[1]](#footnote-1).

**Przełomowe badanie**

Projekt BUTTERFLY to jedna z pierwszych immunoterapii w guzach kości i pierwsza terapia naksytamabem w mięsaku Ewinga na świecie. Badanie ma na celu poprawę diagnostyki i leczenia pacjentów z chorobą oporną i nawrotową, a także standaryzację i ujednolicenie podejścia diagnostycznego oraz terapeutycznego. Umożliwi również stworzenie biobanku, w którym przechowywane będą próbki biologiczne chorych. To z kolei pomoże w dalszym rozwoju terapii spersonalizowanej, dostosowanej do indywidualnych potrzeb każdego pacjenta.

*– U pacjentów z mięsakiem Ewinga, u których występuje rozsiew choroby i negatywne czynniki rokownicze, od ponad 30 lat nie uzyskano poprawy wyników leczenia. Wstępne dane pokazują, że u ok. 60-80% chorych na powierzchni komórek nowotworowych wykrywa się gangliozyd GD2. Skuteczność kliniczną naksytamabu w ich niszczeniu wykazano u dzieci i młodzieży z neuroblastomą, u których stosowano ten lek. W powiązaniu z innymi kwestiami, uzasadnia to podjęcie badań nad naksytamabem w połączeniu z chemioterapią w mięsaku Ewinga. Kluczowym celem badania jest sprawdzenie skuteczności i bezpieczeństwa zaawansowanej chemioimmunoterapii personalizowanej. Zakłada ona integrację standardowej chemioterapii z udostępnieniem nowego przeciwciała –* wyjaśnia prof. Anna Raciborska, kierownik projektu BUTTERFLY realizowanego w Klinice Onkologii i Chirurgii Onkologicznej Dzieci i Młodzieży Instytutu Matki i Dziecka.

Pierwszym pacjentem objętym terapią naksytamabem jest dwunastoletni Jakub, który od 25 października otrzymał już dwie dawki tego leku.

**Szansa na nowoczesną terapię**

Obecnie leczenie mięsaka Ewinga ma charakter skojarzony. Jego podstawą jest chemioterapia stosowana zarówno przed jak i po zabiegu chirurgicznym. W procesie leczenia tego rodzaju nowotworu stosuje się również radioterapię – zazwyczaj po zabiegu operacyjnym. Czasem, w przypadku braku reakcji organizmu na chemioterapię wstępną, radioterapię stosuje się razem z chemioterapią indukcyjną. Takie postępowanie prowadzi do powrotu do zdrowia u 60-65% pacjentów, ale w przypadku zmian przerzutowych ten odsetek jest znacznie niższy[[2]](#footnote-2). Zdarza się, że mimo zastosowania tradycyjnej ścieżki leczenia, u części pacjentów nie udaje się zatrzymać choroby lub choroba powraca. Dlatego tak ważne jest opracowanie nowoczesnych metod diagnostyki i leczenia nowotworów u dzieci oraz młodych dorosłych.

*– Niekomercyjne badania kliniczne mają służyć przede wszystkim optymalizacji sposobu leczenia. Dają możliwość porównania nowych schematów z/lub włączeniem dodatkowych leków, ich dawkowania czy procedur diagnostyczno-terapeutycznych. Umożliwiają stosowanie bardziej precyzyjnej i często mniej inwazyjnej diagnostyki. Dzięki ich rozwojowi lekarze mogą tworzyć nowe standardy postępowania, personalizować leczenie, podnosić wskaźniki wyleczalności. Osoby zakwalifikowane do badań prowadzonych przez IMID nie ponoszą kosztów związanych z leczeniem, są objęte stałą opieką zespołu lekarzy i pielęgniarek oraz mają dostęp do najwyższej jakości procedur medycznych i diagnostyki. Daje to dziecięcym pacjentom i ich rodzinom poczucie bezpieczeństwa oraz jest potwierdzeniem świadczenia przez Klinikę usług medycznych na najwyższym poziomie –* wyjaśniaprof. Anna Raciborska, Kierownik Kliniki Onkologii i Chirurgii Onkologicznej Dzieci i Młodzieży w Instytucie Matki i Dziecka.

**Ruszyła rekrutacja pacjentów**

Badanie realizowane w ramach projektu BUTTERFLY będzie trwać do końca lipca 2028 roku. Wziąć w nim udział mogą pacjenci między 2 a 21 rokiem życia, u których wystąpiła progresja lub nawrót mięsaka Ewinga. Do uczestnictwa można zostać zaproszonym przez lekarza-badacza lub zgłosić się samodzielnie do ośrodka badań. Decyzja o kwalifikacji zostaje podjęta na podstawie historii choroby, aktualnych wyników oraz spełniania określonych kryteriów włączenia. Pacjentom, u których standardowe leczenie nie przyniosło efektów, udział w badaniu daje możliwość skorzystania z najnowocześniejszych terapii, innowacyjnych leków oraz metod leczenia.

Złośliwe nowotwory dziecięce to choroby rzadkie – w Polsce rocznie odnotowuje się ok. 1100-1200 nowych zachorowań. Ich wyleczalność zależy od wielu czynników, ale średnio szacuje się ją na ok. 80%. Nie brakuje jednak dziecięcych pacjentów opornych na tradycyjne metody leczenia czy takich, u których występują wznowa lub przerzuty. Szansą na powrót do zdrowia są dla nich niekomercyjne badania kliniczne. W Klinice Onkologii i Chirurgii Onkologicznej Dzieci i Młodzieży Instytutu Matki i Dziecka, oprócz BUTTERFLY, prowadzone są również inne projekty kliniczne. W ramach POLHISTIO realizowane są 3 prace badawcze (HISTIOGEN, BRAVO, TRAM), ukierunkowane na pacjentów z rozrostami komórek histiocytarnych oraz REGBONE dla pacjentów ze złośliwymi, pierwotnymi nowotworami kości (mięsak Ewinga, mięsak kościopochodny), opornymi na standardową terapię. Wszystkie te projekty realizowane są ze środków Agencji Badań Medycznych.

**Klinika Onkologii i Chirurgii Dzieci i Młodzieży Instytutu Matki i Dziecka (IMiD)**

Najstarsza w Polsce, wysokospecjalistyczna Klinika onkologiczna dla dzieci i młodzieży zlokalizowana w Warszawie. Interdyscyplinarny, doświadczony zespół Kliniki prowadzi pełną diagnostykę i kompleksowe leczenie nowotworów u dzieci od okresu płodowego do 25. roku życia z całego kraju. Specjalizuje się w zakresie leczenia guzów litych poza ośrodkowym układem nerwowym oraz histiocytoz. Klinika jest ośrodkiem referencyjnym w leczeniu oszczędzającym, umożliwiającym uratowanie kończyny choremu dziecku. Do 2023 r. wykonano już ok. 1000 zabiegów wszczepiania endoprotez, także tych wydłużanych mechanicznie lub w wyniku działania pola elektromagnetycznego. Najmłodszy pacjent, u którego wykonano taki zabieg miał 8 miesięcy. Zespół Kliniki prowadzi także działalność naukową – m.in. niekomercyjne badania kliniczne dot. leczenia guzów litych u dzieci.

**Dr hab. n. med., prof. IMID Anna Raciborska**

Specjalistka pediatrii, onkologii i hematologii dziecięcej. Jest absolwentką II Wydziału Lekarskiego Akademii Medycznej w Warszawie (obecnie Warszawski Uniwersytet Medyczny), a także absolwentką wydziału Rehabilitacji Ruchowej Akademii Wychowania Fizycznego w Warszawie. Od 2003 jest związana z Instytutem Matki i Dziecka w Warszawie, gdzie od 2017 pełni funkcję kierownika Kliniki Onkologii i Chirurgii Onkologicznej, a także członka Rady Naukowej IMiD. Jednym z głównych celów jej pracy zawodowej jest poprawa wyników leczenia pierwotnych nowotworów kości oraz chorób z kręgu histiocytoz. Anna Raciborska jest otwartą i łamiącą stereotypy lekarką, a onkologia dziecięca jest jej pasją. W swojej pracy łączy doświadczenie dynamicznej i rzeczowej specjalistki z empatią kobiety i matki.

**Kontakt dla mediów:**

Ewelina Jaskuła

Tel. +48 665 339 877

E-mail: [ewelina.jaskula@goodonepr.pl](mailto:ewelina.jaskula@goodonepr.pl)

Monika Bielkiewicz

Tel. + 48 881 575 502

E-mail: [monika.bielkiewicz@goodonepr.pl](mailto:monika.bielkiewicz@goodonepr.pl)

1. https://projektbutterfly.pl/informacje-o-projekcie [↑](#footnote-ref-1)
2. <https://imid.med.pl/pl/dzialalnosc-kliniczna/dzialkliniczna/kliniki/klinika-onkologii-i-chirurgii-onkologicznej/mi%C4%99sak-ewinga> [↑](#footnote-ref-2)