

Tumore colon-retto, una nuova combinazione di farmaci raddoppia la sopravvivenza dei pazienti metastatici

Approvata in Italia e disponibile, come terapia di prima linea, per i circa 800 malati con mutazione di BRAF che ogni anno possono trarne beneficio

(Fonte: <https://www.corriere.it/> 25 febbraio 2026)



L'Italia è il primo Paese in Europa a garantire, attraverso il Servizio sanitario nazionale, l'accesso in prima linea a una nuova combinazione terapeutica per i pazienti con **tumore del colon-retto metastatico con mutazione di BRAF**, una delle forme più aggressive della malattia. Una terapia che ha dimostrato di **raddoppiare la sopravvivenza rispetto allo standard**. La combinazione di due farmaci a bersaglio molecolare, **encorafenib e cetuximab**, associati alla **chemioterapia tradizionale**, è passata dall'essere «ultima spiaggia» a cura di prima scelta. A beneficiarne saranno all'incirca **800 persone ogni anno**, cioè l'8-10% dei pazienti con malattia metastatica portatori della mutazione BRAF, nell'ambito di un tumore che in Italia registra circa 48mila nuove diagnosi ogni anno.

Mentre l'Europa è in attesa del via libera formale dell'EMA (European Medicine Agency), su impulso del **GOIM (Gruppo Oncologico Italia Meridionale)**, l'Agenzia Italiana del Farmaco (Aifa) ha infatti **accorciato i tempi**, attivando un percorso anticipato di accesso alla terapia attraverso la procedura prevista dalla **legge 648/96**. Questo strumento permette di **rendere disponibili farmaci innovativi prima della conclusione dell'iter burocratico europeo** quando esiste un bisogno clinico

urgente e prove scientifiche schiaccianti. L'approvazione Aifa è stata comunicata proprio in occasione del congresso GOIM, in corso a Bari.

Raddoppia l'aspettativa di vita (e supera i 30 mesi)

«La decisione dell'Aifa si basa sui dati dello studio randomizzato di fase tre **BREAKWATER** che ha valutato l'associazione di chemioterapia con encorafenib e cetuximab rispetto allo standard di cura nei pazienti con tumore del colon-retto metastatico con mutazione BRAF (V600E)» spiega **Fortunato Ciardiello**, tra gli autori dello studio e professore di oncologia medica presso l'Università degli studi della Campania Luigi Vanvitelli di Napoli.

I risultati, oggetto di una pubblicazione sul [*New England Journal of Medicine*](#), hanno dimostrato che **con la nuova combinazione raddoppia la sopravvivenza globale dei pazienti**, che passa così da una mediana di circa 15-16 mesi a oltre 30. «Questo trattamento rappresenta un punto di svolta per una popolazione di pazienti che, fino a pochi anni fa, aveva opzioni terapeutiche molto limitate e una progressione di malattia estremamente rapida - sottolinea Ciardiello -. Storicamente circa la metà di questi pazienti non arrivavano nemmeno a ricevere una seconda linea di trattamento. L'utilizzo della **terapia a bersaglio molecolare** solo nelle fasi avanzate non consentiva di recuperare il vantaggio clinico osservato negli studi. Mentre l'introduzione precoce della terapia a bersaglio molecolare, in associazione alla chemioterapia, **cambia radicalmente la storia clinica della malattia**, rendendola più controllabile e raddoppiando l'aspettativa di vita».

Il test per la mutazione va eseguito all'inizio delle cure

Per tutti i malati sapere se il proprio tumore ha o meno una determinata mutazione genetica può fare una grande differenza. È anche in base a questa informazione, infatti, che per molti tipi di cancro oggi si decide la terapia: gli oncologi optano per un farmaco o una combinazione di medicinali proprio in base al cosiddetto «**profilo molecolare**» della neoplasia. Non sempre, però, vengono effettuati i test necessari a individuare la presenza di eventuali geni mutati sia perché in molti casi non sono rimborsati dal Servizio sanitario, sia perché servono apparecchiature molto sofisticate per eseguire questo tipo di analisi.

«Individuare la mutazione di BRAF fin dalla diagnosi di malattia metastatica consente di **orientare subito la scelta terapeutica verso l'opzione più efficace** - sottolinea **Stefania Napolitano**, ricercatrice oncologia medica presso l'Università Vanvitelli -. Ovvero avere accesso a una terapia che ha dimostrato di offrire il massimo beneficio quando utilizzata come trattamento di prima linea. Il tumore del colon-retto non può più essere considerato una singola malattia: esistono sottotipi biologicamente diversi che richiedono strategie terapeutiche diverse e riconoscerli tempestivamente significa offrire alle persone la terapia più appropriata nel momento giusto. La medicina di precisione, in questo caso, non è uno slogan ma uno strumento concreto che consente di raddoppiare la sopravvivenza». La vera novità introdotta per prima in Italia è dunque l'accesso

in prima linea. «Se il nuovo trattamento viene utilizzato solo **dopo il fallimento delle terapie standard, il beneficio si perde** in larga parte - specifica Napolitano -. È intervenendo subito, all'inizio della malattia metastatica, che si ottiene il massimo risultato».

La legge 648/96 evita ritardi, preziosa per i pazienti

Negli Stati Uniti, sulla base dei risultati dello studio BREAKWATER, questo approccio è già entrato nel corso dello scorso anno nella pratica clinica come nuovo riferimento terapeutico. «Come Gruppo Oncologico dell'Italia Meridionale abbiamo contribuito affinché l'Italia accelerasse l'accesso tempestivo a questa opportunità terapeutica - conclude **Roberto Bordonaro, presidente GOIM e direttore del Dipartimento Oncologico e della Struttura Complessa di Oncologia Medica dell'Ospedale Garibaldi di Catania** -. La procedura prevista dalla legge 648/96 dimostra che il **Servizio Sanitario Nazionale dispone di strumenti in grado di mettere a disposizione terapie innovative** quando esistono evidenze scientifiche robuste e un bisogno clinico elevato, evitando ritardi che, in una fase di malattia così avanzata, possono incidere in modo diretto sulla sopravvivenza. In questo caso lo ha fatto per una delle forme più aggressive di tumore del colon-retto, un tipo di tumore che colpisce oggi uomini e donne in misura ormai pressoché sovrapponibile e la cui incidenza è in aumento nella popolazione under 50. Il GOIM conferma così il suo impegno a tradurre l'evidenza scientifica in beneficio concreto per i malati oncologici, contribuendo attivamente a ridurre le disuguaglianze terapeutiche e a migliorare gli standard di cura».