

Tumore della vescica, nuova cura per i pazienti inoperabili o metastatici: arriva in Italia un farmaco in compresse

Via libera di Aifa a una target therapy che allunga la sopravvivenza di chi ha un carcinoma con mutazione di FGFR3, ma il test non è ancora rimborsato

(Fonte: <https://www.corriere.it/> 9 gennaio 2026)



Ogni anno circa 31 mila italiani scoprono di avere un tumore della vescica, il quinto tipo di cancro più diffuso nel nostro Paese e i numeri sono in aumento. Non se ne parla spesso, ma questa neoplasia è stata al centro dell'attenzione degli specialisti durante il congresso annuale della European Society for Medical Oncology (Esmo) quando sono state presentate numerose novità terapeutiche molto promettenti. Fra queste c'è anche **erdafitinib**, target therapy da assumere come **monoterapia per via orale una volta al giorno**, ora approvata anche dall'Agenzia Italiana del Farmaco (Aifa) per i pazienti con una forma particolarmente aggressiva. Nello specifico il nuovo farmaco viene rimborsato per il **carcinoma uroteliale non resecabile o metastatico** in adulti che presentino alterazioni genetiche del fattore di crescita dei fibroblasti (FGFR3) e che abbiano ricevuto in precedenza almeno una linea di terapia, tra cui un inibitore del recettore della morte programmata 1 (PD-1) o del suo ligando (PD-L1).

Un quarto dei casi scoperto in stadio avanzato

«Il carcinoma uroteliale interessa, appunto, l'**urotelio** (cioè il tessuto che riveste le vie urinarie, tra le quali vescica, pelvi renali, ureteri e uretra) rappresentando oltre il 90 per cento di tutti i

casi - spiega **Patrizia Giannatempo**, oncologa all'IRCCS Istituto Nazionale dei Tumori di Milano -. Purtroppo i sintomi sono poco specifici, spesso vengono sottovalutati, così la **diagnosi avviene in un caso su quattro in una fase della malattia già avanzata o metastatica».**

Sebbene, la sopravvivenza a cinque anni dei pazienti sia oggi tra il 60 e l'80 per cento, a seconda della localizzazione, nelle forme metastatiche la sopravvivenza si riduce drasticamente, fino ad arrivare all'8 per cento. Come dimostrano i **risultati dello studio THOR** (che hanno portato all'approvazione della molecola) l'impiego del nuovo farmaco consente però di prolungare la sopravvivenza dei malati.

La decisione di Aifa, infatti, si basa sugli esiti del trial (di fase tre) che ha valutato l'efficacia e la sicurezza di **erdafitinib rispetto alla chemioterapia**, in pazienti con tumore uroteliale localmente avanzato non resecabile o metastatico con selezionate alterazioni FGFR, progrediti dopo uno o due trattamenti precedenti, almeno uno dei quali con un agente anti-PD-(L)1. I dati hanno dimostrato una **sopravvivenza globale mediana di oltre un anno**, con un miglioramento significativo rispetto a quelli del braccio di chemioterapia (12,1 mesi verso 7,8 mesi). Il trattamento con erdafitinib ha anche mostrato un miglioramento della sopravvivenza mediana libera da progressione rispetto alla chemioterapia (5,6 mesi contro 2,7 mesi) e un numero superiore di malati che rispondono alla cura (tasso di risposta obiettiva del 35,3 per cento contro l'8,5 per cento).

Fondamentale il test per la mutazione di FGFR3

«Circa il 20 per cento dei casi di tumore uroteliale metastatico o non resecabile **presenta mutazioni di FGFR3** - dice Giannatempo -. In questo contesto, l'arrivo di erdafitinib in Italia è un importante traguardo perché rappresenta la prima terapia a bersaglio molecolare per questa tipologia di pazienti. Inoltre, gli studi clinici condotti con questo farmaco hanno dimostrato una superiorità rispetto alla chemioterapia in termini di efficacia, permettendo di **diminuire di quasi il 40 per cento il rischio di morte**. Il vantaggio di questo trattamento ha portato un comitato di revisione indipendente ad aprire il cieco dello studio consentendo anche ai pazienti che avevano ricevuto il trattamento di controllo di potere beneficiare di erdafitinib».

Come raccomandato dalle linee guida della European Association of Urology nel 2024,

poter riconoscere la presenza di alterazioni di FGFR attraverso l'uso dei test

molecolari/genomici precoci, già alla diagnosi di carcinoma metastatico è fondamentale.

«L'identificazione di mutazioni di FGFR nei pazienti con carcinoma uroteliale riveste un ruolo fondamentale per una gestione realmente personalizzata della malattia perché consente di selezionare i pazienti che possono beneficiare di terapie a bersaglio specifico, come erdafitinib, migliorando la risposta clinica e la sopravvivenza in uno specifico gruppo di malati già sottoposti a chemioterapia e immunoterapia - commenta **Fabio Calabrò, direttore dell'Oncologia Medica alla Fondazione IRCCS, Istituto Nazionale dei Tumori Regina Elena, di Roma** -. Purtroppo, **nel nostro Paese questi test non vengono ancora rimborsati**. L'inserimento del test di FGFR3 nei livelli

essenziali di assistenza (Lea) per il carcinoma della vescica garantirebbe un accesso equo e omogeneo su tutto il territorio nazionale a un approccio diagnostico e terapeutico ormai imprescindibile nell'oncologia di precisione, contribuendo a **ottimizzare le risorse del sistema sanitario e ad aumentare le possibilità di cura per i pazienti».**

Attenzione a sangue nelle urine e cistiti ricorrenti

Nonostante colpisca principalmente gli uomini, i numeri del carcinoma uroteliale sono in crescita soprattutto nel sesso femminile e le donne presentano stadi più avanzati, con prognosi e risultati peggiori. Il principale segno è il sangue nelle urine, o ematuria, che deve essere considerato un vero e proprio campanello d'allarme. Altre possibili spie, anche se più rare, possono essere la necessità di urinare più frequentemente o le infezioni ricorrenti: in tutti questi casi, senza temporeggiare, è bene parlarne subito con il proprio medico che indicherà se è necessaria la visita con uno specialista urologo e quali esami è utile fare.

Da non tralasciare, infine, l'aspetto psicologico e umano, dove una corretta diagnosi si associa necessariamente al bisogno di supporto, anche al di fuori della terapia: «Sempre più pazienti con carcinoma uroteliale vivono un percorso diagnostico e terapeutico complesso, che incide profondamente sulla loro salute fisica e psicologica, nonché su quella dei loro familiari, a causa di sintomi più o meno impattanti sulla qualità di vita e sulla propria autonomia, quali incontinenza, alterazioni della funzionalità intestinale e problematiche legate alla sessualità - conclude **Laura Magenta, paziente, volontaria e assistente alla presidenza dell'Associazione PaLiNUro - Pazienti Liberi Dalle Neoplasie Uroteliali** -. Nonostante il supporto del personale medico-infermieristico sia cruciale, è spesso limitato ai periodi di degenza ospedaliera, lasciando spesso il paziente da solo e disorientato negli "spazi vuoti": quando riceve la diagnosi oppure quando è fuori dall'ospedale, seppur nel calore della sua abitazione. La nostra associazione si prefigge di colmare questi vuoti temporali e di non fare sentire il paziente solo nel suo percorso di malattia».