

Leucemia mieloide acuta, aggressiva e tipica degli anziani: c'è una nuova cura

Disponibile anche in Italia un nuovo medicinale in compresse per i pazienti con una forma molto aggressiva: raddoppia il tempo medio di sopravvivenza

(Fonte: <https://www.corriere.it/> 19 novembre 2025)



Ogni anno sono **circa duemila, in Italia, i nuovi casi di leucemia mieloide acuta**, una neoplasia che origina nelle cellule staminali presenti nel midollo osseo e **si sviluppa molto rapidamente**. Una patologia **aggressiva**, difficile da combattere anche perché, non di rado, va incontro a una **recidiva**. E a complicare le cose c'è il fatto che **colpisce soprattutto persone anziane** (ma può insorgere anche nei bambini e persone più giovani): la maggior parte dei malati, infatti, riceve la diagnosi a un'età compresa **fra i 65 e gli 85 anni**.

È in questo contesto che s'inserisce un **nuovo farmaco in compresse (quizartinib)**, da poco approvato dall'Agenzia Italiana del Farmaco (Aifa) e dunque **disponibile tramite Sistema sanitario nazionale** nel nostro Paese.

Mutazioni genetiche strategiche per decidere la cura

A oggi **la terapia più efficace per poter guarire resta il trapianto di midollo** da donatore, ma la maggior parte dei malati (anche per via dell'età avanzata) non è candidabile a questa procedura «**pesante**» da tollerare. Inoltre è fondamentale che la cura venga **differenziata in base al tipo di alterazioni molecolari presenti nel singolo caso**: per questo è indispensabile che tutti i malati, prima di iniziare una terapia, facciano **test genetici e molecolari, molto sofisticati**, per identificare in modo rapido e preciso i target per i farmaci da associare al trattamento tradizionale.

«Dopo 30 anni in cui era disponibile esclusivamente la chemioterapia, purtroppo solo parzialmente efficace, negli ultimi anni [sono arrivate diverse cure innovative](#) che stanno cambiando radicalmente il modo di curare la leucemia mieloide acuta - ricorda **Roberto Cairoli, direttore dell'Ematologia presso l'Ospedale Niguarda Ca' Granda di Milano e Professore Associato di Ematologia all'Università Milano Bicocca** -. Sono state identificate **numeroso mutazioni genetiche** nella leucemia mieloide acuta e questo ci ha aiutato a mettere a punto **terapie mirate**, a comprendere i meccanismi della malattia e la prognosi dei pazienti. Le **mutazioni FLT3-ITD** sono tra le più comuni, sono **presenti in circa il 25-30% dei malati**, e il nuovo medicinale è diretto proprio contro questo bersaglio».

Si tratta, peraltro, di mutazioni che contribuiscono a una **prognosi particolarmente sfavorevole**, perché indicano un aumento del rischio di recidiva, una scarsa percentuale di risposta alla terapia di salvataggio e un'attesa di sopravvivenza più breve rispetto ai pazienti con leucemia mieloide acuta senza mutazione.

Terapia in tre fasi: induzione, consolidamento, mantenimento

«Ecco perché il nuovo farmaco è prezioso - commenta **Adriano Venditti, direttore del Dipartimento di Onco-Ematologia e Professore Ordinario di Ematologia all'Università Tor Vergata di Roma** -. Aifa l'ha approvato per trattare questa patologia aggressiva **fin dalla prima linea**, così da diminuire il rischio (consistente) di ricaduta della malattia: quizartinib ha dimostrato di ridurre il tasso di mortalità e di **raddoppiare la sopravvivenza globale mediana**».

Il via libera di Aifa, infatti, è per il trattamento di pazienti adulti con leucemia mieloide acuta FLT3-ITD positiva di nuova diagnosi, in associazione a chemioterapia di induzione standard (a base di citarabina e antraciclina) e chemioterapia di consolidamento standard (a base di citarabina), seguite da quizartinib come monoterapia di mantenimento.

Qual è l'attuale terapia standard per le persone con questa neoplasia?

Le linee guida prevedono un trattamento diviso in **tre fasi: induzione, consolidamento, mantenimento**. «Si procede generalmente con una **chemioterapia intensiva (ad alte dosi) che punta a ridurre al minimo le cellule leucemiche e raggiungere la remissione completa della malattia (induzione)**, per poi passare a una terapia di **consolidamento o mantenimento**, il cui obiettivo è quello di eliminare tutte le cellule tumorali residue e **ridurre il rischio di ricadute** - dice Venditti -. Se possibile, nei pazienti che raggiungono la remissione completa e che possono sopportarlo, si continua con il **trapianto allogenico** di cellule staminali. Altrimenti si procede con una **terapia di mantenimento**». Il trattamento iniziale di induzione e la successiva terapia di consolidamento e mantenimento vengono scelti in base all'età del paziente, al suo stato di salute generale e al rischio della sua specifica neoplasia (citogenetico/molecolare).

Lo studio QuANTUM-First e i bisogni dei malati

Quizartinib si è dimostrato efficace, aggiunto alla chemioterapia, sia in fase iniziale d'induzione sia come mantenimento per un ciclo di 36 mesi.

Lo indicano i risultati dello studio QuANTUM-First, pubblicato sulla [prestigiosa rivista The Lancet](#), che ha coinvolto 539 pazienti: quizartinib è stato valutato in combinazione con chemioterapia standard di induzione e consolidamento, incluso il trapianto di cellule staminali emopoietiche, e come monoterapia di mantenimento per un massimo di 36 cicli, in pazienti adulti di età compresa tra 18 e 75 anni con leucemia mieloide acuta di nuova diagnosi positiva per la mutazione FLT3-ITD. Quizartinib ha **ridotto il rischio di mortalità del 22%** rispetto alla sola chemioterapia standard e la **sopravvivenza globale mediana è stata di 31,9 mesi** per i pazienti trattati con quizartinib rispetto a 15,1 mesi per i pazienti trattati con la sola chemio standard.

La leucemia mieloide acuta è legata alla moltiplicazione incontrollata di blasti (cellule cancerose di derivazione mieloide) che invadono il midollo osseo, che non è più in grado di funzionare correttamente e, in particolare, di garantire la produzione di cellule del sangue normali. «Questa insufficienza midollare porta all'insorgenza di **anemia (affaticamento, pallore, difficoltà a respirare e tachicardia)**, a una **predisposizione alle infezioni** (anche gravi) dovuta alla diminuzione dei granulociti neutrofili. Infine, la diminuzione del numero di piastrine (trombocitopenia) può causare **emorragie**, in particolare a livello della cute e delle mucose. «Il paziente con leucemia mieloide acuta è spesso **anziano e quindi fragile** per definizione - conclude **Davide Petruzzelli, Presidente dell'Associazione Pazienti La Lampada di Aladino** -. La malattia lo debilita ulteriormente provocando una **diminuzione della sua qualità di vita**, una condizione che condivide con molti altri malati ematologici. È fondamentale garantire un'assistenza globale a questi pazienti, che includa **supporto psicologico, nutrizionale** e una gestione efficace del follow-up. È necessario inoltre ridurre le disuguaglianze nell'accesso alle cure e promuovere una sinergia tra ospedale e territorio, passando da una logica di prestazione a una di presa in carico».