

Přehled aktivních a připravovaných klinických hodnocení aktivních a specifických léčebných programů stav k 1.3.2023

Neuroblastom

1. High-Risk Neuroblastoma Study 2 of SIOP-Europa-Neuroblastoma (SIOPEN)

- Akademická studie
- Národní koordinátor FN MOTOL
- Otevřená

2. 2134706

- A PHASE 1, MULTICENTRE, OPEN-LABEL, DOSEESCALATION AND COHORT EXPANSION STUDY OFNIRAPARIB AND DOSTARLIMAB IN PAEDIATRIC PATIENTS WITH RECURRENT OR REFRACTORY SOLID TUMOURS
- Refrakterní, relabovaný neuroblastom, osteosarkom
- Otevřená, Inicie 09/2022

3. LEE011

- Phase I/II multicenter study to assess efficacy and safety of ribociclib (LEE011) in combination with topotecan and temozolomide (TOTEM) in pediatric patients with relapsed or refractory neuroblastoma and other solid tumors
- Refrakterní neuroblastom + v první fázi i refrakterní HGG, MB, MRT, HB a RMS
- V přípravě, otevření plánováno 03/2023

Nefroblastom

1. UMBRELLA

- WT + non WT
- Národní koordinátor KDO Brno
- Otevřená, Inicie 07/2021

Hepatoblastom

1. PHITT

- Paediatric Hepatic International Tumour Trial (Clinical diagnosis of HB* and histologically defined diagnosis of HB or HCC)
- Národní koordinátor FN MOTOL
- Otevřeno od 10/2019

Sarkomy

1. FaR-RMS

- An Overarching Study for Children and Adults With Frontline and Relapsed RhabdoMyoSarcoma
- Národní koordinátor KDO Brno
- Otevřeno Brno 16.11. 2022 (mimo terapii protony) , V přípravné fázi otevření FN Motol

2. 20290 SCOUT

- Klinické hodnocení fáze 1/2 perorálního inhibitoru TRK larotrektinibu u pediatrických pacientů s pokročilými solidními nádory nebo primárními nádory centrální nervové soustavy
- Otevřeno

Lymfomy + histiocytóza z Langerhansových buněk

1. NHL 2013

- Children and adolescents younger than 18 years of age with aggressive mature B-cell Non-Hodgkin lymphoma or leukemia (B-NHL/B-AL)
- Národní koordinátor FN MOTOL

2. LBL 2018

- International cooperative treatment protocol for children and adolescents with lymphoblastic lymphoma
- Otevřeno, FN Motol

3. KTE-C19-104 (ZUMA-4)

- A Phase 1/2 Multi-Center Study Evaluating the Safety and Efficacy of KTE-X19 in Pediatric and Adolescent Subjects with Relapsed/Refractory B-precursor Acute Lymphoblastic Leukemia or Relapsed/Refractory B-Cell Non-Hodgkin Lymphoma (ZUMA-4)
- po zhodnocení risk/benefit byla zcela uzavřena kohorta pro akutní lymfoblastickou leukémií. Kohorta pro NHL je uzavřena dočasně a po zapracování dodatků (implementace bezpečnostních rizik) bude znovu otevřena až po schválení příslušnými regulačními autoritami - předpoklad podzim 2023.

4. LCH-IV

- Optimization Study for Children with De Novo and Relapsed Langerhans cell Histiocytosis (LCH) as Part of the International Study LCH-IV
- Národní koordinátor FN MOTOL

+ Specifický léčebný program nivolumab pro pacienty se zvýšenou mutační náloží

- Obecně možnost zařadit pacienty různých Dg. Se zvýšenou mutační náloží

Nádory CNS

1. SIOP PNET 5MB

- AN INTERNATIONAL PROSPECTIVE TRIAL ON MEDULLOBLASTOMA (MB) IN CHILDREN OLDER THAN 3 TO 5 YEARS WITH WNT BIOLOGICAL PROFILE (PNET 5 MB - LR and PNET 5 MB - WNT-HR), AVERAGE-RISK BIOLOGICAL PROFILE (PNET 5 MB -SR), OR TP53 MUTATION, AND REGISTRY FOR MB OCCURRING IN THE CONTEXT OF GENETIC PREDISPOSITION
- Národní koordinátor KDO Brno
- Otevřeno od 10/2017

2. SIOP Ependymoma

- An International Clinical Program for the Diagnosis and Treatment of Children, Adolescents and Young Adults With Ependymoma
- Národní koordinátor KDO Brno
- Otevřeno od 10/2017

3. MEMMAT

- A Phase II Study of Metronomic and Targeted Anti-angiogenesis Therapy for Children With Recurrent/Progressive Medulloblastoma, Ependymoma and ATRT
- Již pouze pro progresive EP a AT/RT
- Otevřeno od 2016

4. YC-LRMB

- Prospective international SIOPE/Head Start phase-III clinical trial for young children with low-risk medulloblastoma (YCMB-LR)
- Národní koordinátor KDO Brno
- V přípravě, zahájení nejdříve koncem roku 2023

5. SIOP HRMB

- AN INTERNATIONAL PROSPECTIVE TRIAL ON HIGHRISK MEDULLOBLASTOMA IN PATIENTS OLDER THAN 3 YEARS
- Národní koordinátor KDO Brno
- V přípravě, zahájení cca 05/2023

6. FIREFLY-2

- A Phase 3, Randomized, International Multicenter Trial of DAY101 Monotherapy Versus Standard of Care Chemotherapy in Patients with Pediatric Low-Grade Glioma Harboring an Activating RAF Alteration Requiring First-Line Systemic Therapy.
- V přípravě, zahájení cca 05/2023

7. CDRB436G2401

- Roll on (pokračovací) studie dětí a dospívajících s gliomem s nízkým stupněm malignity (LGG) nebo relabovaným či refrakterním gliomem s vysokým stupněm malignity (HGG) a pozitivní mutací V600 genu BRAF
- Pouze pro pacienty převedené z předchozí studie, nelze zařazovat nové pacienty

8. Výše uvedené Basket studie LEE011 (refrakterní MBL,HGG) a 20290SCOUT (Refrakterní Tu CNS s potvrzenou NTRK fúzí)

Specifické léčebné programy

- SLP Entrectinib – hromadný ukončen, je možno pokusit se pouze individuální SLP na konkrétního pacienta ve spolupráci s f. Roche.
- SLP Tazemetostat – ukončen pro tbl. i sirup
- SLP Trametinib – otevřen pro pacienty s prokázanou aktivací MAPK dráhy
- SLP Dabrafenib rozpustné tablety – v přípravě – zahájení cca 05/2023