

TUMORES RAROS EN NIÑOS Y ADOLESCENTES

RARE TUMORS IN CHILDREN AND ADOLESCENTS

DRA. MILENA VILLARROEL C. (1) (2), DR. GUILLERMO L CHANTADA, MD, PHD (3)

(1) Departamento de Pediatría, Oncología, Clínica Las Condes.

(2) Jefe Unidad Oncología Hospital Luis Calvo Mackenna.

(3) Coordinador Instituto de Investigación Hospital JP Garrahan, Buenos Aires, Argentina.

(4) Investigador Asociado, Servicio de Hemato-oncología Hospital Sant Joan de Déu, Barcelona, España.

Email: milenavillarroel@clinicalascondes.cl

RESUMEN

Los tumores infrecuentes están definidos como cánceres pediátricos con una incidencia anual <2 casos por millón. Aunque son percibidos como raros, constituyen el 15% de todos los cánceres en menores de 20 años y 30% de todos los tumores de pacientes entre 15 y 19 años.

Se han desarrollado proyectos cooperativos nacionales e internacionales pediátricos con el fin de mejorar el manejo clínico y la investigación básica en estos tumores. Revisamos los procesos desarrollados y las dificultades que se han enfrentado, como bajas tasas de registro y participación en bancos de tumores y estudios clínicos. Esta experiencia inicial ha permitido desarrollar estrategias alternativas que permitirían implementar una iniciativa similar para América Latina.

La experiencia demuestra la factibilidad de cooperación multidisciplinaria a nivel nacional y sugiere que se pueden realizar estudios internacionales, que aumenten nuestro entendimiento de la biología de estos tumores, mejorando los resultados de tratamiento de niños y adolescentes con cánceres infrecuentes.

Palabras clave: Tumores raros en pediatría, manejo multidisciplinario, manejo clínico, investigación básica, proyecto TREP.

SUMMARY

Although perceived as rare, infrequent tumors, defined as childhood solid malignancies with an annual incidence < 2/million and not considered in other clinical trials, account for 15% of all cancers in patients younger than age 20 and for 30% of all tumors in patients ages 15 to 19.

National and international cooperative projects on rare paediatric tumours have been developed to improve the clinical management and basic research on these tumors. We reviewed the process developed and the problems it had to face, as low rates of registration, low levels of participation in tumor banking, and clinical trials. This initial experience has allowed to develop alternative strategies that could help to launch a latinamerican initiative.

Experience demonstrates the feasibility of a national multidisciplinary cooperation and suggests that international studies can be performed, increasing our knowledge to understand the biology and improving the treatment results of young patients with rare cancers.

Key words: Pediatric rare tumours, multidisciplinary approach, clinical management, basic research, TREP proyect.

INTRODUCCIÓN

Un tumor "raro" es un término relativo, porque el cáncer infantil es una enfermedad con una prevalencia de 15 por 100.000 niños y adolescentes hasta 18 años, menor de los 50 casos por 100.000, cifra bajo la cual una enfermedad se considera como infrecuente. Anualmente la incidencia de cáncer es de 1 por 7000 en niños y adolescentes menores de 15 años (1). Se estima que en Estados Unidos se diagnostican 12.400 casos nuevos de cáncer en niños y adolescentes hasta los 20 años (1, 2), 1.800 en Italia (3) y 500 casos nuevos en niños y adolescentes menores de 15 años en Chile (Programa Infantil Nacional de Drogas Antineoplásicas, PINDA, Ministerio de Salud). El cáncer infantil, como grupo, sería entonces una enfermedad rara por definición. En la práctica sin embargo, consideramos como raros sólo a tumores que no suelen presentarse en edad pediátrica o que tienen histologías de aparición ocasional, con muy pocos niños y adolescentes afectados; y que no están incluidos en protocolos de tratamiento como el resto de cánceres de la infancia. Así definidos estos tumores, son difíciles de estudiar por baja incidencia y aparición esporádica, y para los cuales no existe una aproximación clínica común (2, 3).

Los tumores llamados "raros" así definidos en oncología pediátrica, cuando son vistos en su conjunto, corresponden al 15% de todos los cánceres en pacientes menores de 20 años, y al 30% de los que se presentan entre los 15 y 19 años, incluidos hoy en el grupo que se conoce como adolescente y adulto joven o AYA por sus siglas en inglés (*Adolescent and Young Adult*). Estas cifras no son menores considerando que en este grupo etario el cáncer es la primera causa de mortalidad asociada a enfermedad, y que la identificación de estos pacientes y su posterior inclusión en estudios clínicos es baja. La incidencia de cáncer en este grupo etario dobla la incidencia observada en los niños, pero la supervivencia libre de eventos a 5 años no ha mejorado de la misma forma que la de los pacientes pediátricos (2, 4, 5).

Los tumores raros pediátricos son heterogéneos y algunos subtipos afectan a menos de 1 por millón de niños, por lo que usualmente no son parte de estudios clínicos, aún cuando tienen biología y clínica diferentes de cánceres pediátricos que han sido estudiados exhaustivamente en protocolos cooperativos a través de los años. Para estos tipos de cáncer no han habido estudios sistemáticos, por lo que es difícil saber cuál es la incidencia real, cómo están siendo tratados y cómo responden los niños a tratamientos que generalmente son diseñados para adultos. Es así como estos pacientes no tienen acceso a tratamiento basado en la evidencia, y sus familias no disponen de información acerca de la historia natural de la enfermedad, pronóstico y evolución. Existen entonces, varios desafíos para estudiar estos tumores raros, ya que se requiere

de gran número de casos para tener estudios con resultados significativos; de protocolos uniformes de tratamiento para análisis de supervivencia y factores pronósticos; de seguimiento a largo plazo de niños afectados, especialmente los portadores de mutaciones constitucionales; y de recolección de material biológico (3).

El estudio de estos tumores debe ser hecho en el contexto de esfuerzos colaborativos, como lo ha hecho en el 2002 el *Children's Oncology Group* (COG) que reúne a las instituciones que tratan virtualmente a todos los niños con cáncer en Estados Unidos y que recoge el legado de dos grupos pediátricos cooperativos que lo antecedieron, el *Pediatric Oncology Group* (POG) y el *Children's Cancer Study Group* (2) o como lo hizo en el 2000 el grupo cooperativo nacional italiano a través de su proyecto TREP (*Tumori Rari in Età Pediatrica*) (3). Estas iniciativas ofrecieron por primera vez la oportunidad única de superar los obstáculos que han limitado el estudio de estas enfermedades infrecuentes, constituyéndose en un recurso invaluable para estudiar estos tumores

El concepto de formar una nueva organización para desarrollar estudios clínicos pediátricos en Sudamérica resultó del deseo de incrementar la colaboración entre esta región y el COG, constituyéndose en Montevideo en marzo de 2008 el Grupo de América Latina de Oncología Pediátrica (GALOP) con miembros de Argentina, Brasil, Chile y Uruguay. Entre las proyecciones de GALOP que consolida la colaboración internacional en Sudamérica, está su rol vital para responder a preguntas biológicas y de tratamiento de tumores pediátricos seleccionados, como ha ocurrido con la participación de instituciones latinoamericanas en carcinoma adrenocortical, el protocolo de Sarcoma de Ewing y el protocolo de retinoblastoma.

Claramente la cooperación internacional es lo que puede mejorar la calidad de los estudios de estos tumores raros, algo planteado frecuentemente en el pasado, que con la estructura que tenemos hoy, puede ser abordado de manera más efectiva. Una iniciativa de esta naturaleza en el contexto de GALOP, pueden superar los obstáculos asociados con el bajo número de pacientes, tratamiento irregular, falta de información de seguimiento y disponibilidad de material biológico para estudio; generando información invaluable acerca de la historia natural de estos tumores y creando oportunidades para investigación traslacional que den como resultado un mejor tratamiento para estos cánceres.

DEFINICIONES

Entendiendo que todo cáncer en la infancia es en sí raro, la definición de "raro" para nuestro propósito comprende aque-

Download English Version:

<https://daneshyari.com/en/article/3830070>

Download Persian Version:

<https://daneshyari.com/article/3830070>

[Daneshyari.com](https://daneshyari.com)