ΑΠΟ ΤΗ ΣΥΜΒΑΤΙΚΗ ΘΕΡΑΠΕΙΑ ΣΤΗ ΣΤΟΧΕΥΜΕΝΗ ΑΝΑΣΤΟΛΗ ΤΗΣ ΟΔΟΥ MAPK: ΘΕΡΑΠΕΥΤΙΚΕΣ ΔΙΑΔΡΟΜΕΣ ΠΡΑΓΜΑΤΙΚΟΥ ΚΟΣΜΟΥ ΣΕ 10 ΠΑΙΔΙΑ ΜΕ ΓΛΟΙΩΜΑ ΧΑΜΗΛΟΥ ΒΑΘΜΟΥ ΚΑΚΟΗΘΕΙΑΣ

Βικτώρια Ελευθεριάδου[1], Βασίλειος Τσιτούρας[2], Σοφία Σαββουκίδου[1], Σεραφείμ Αθανασιάδης[1], Ευγενία Παπακωνσταντίνου[1]

1. Παιδοογκολογικό Τμήμα, Ιπποκράτειο Γενικό Νοσοκομείο Θεσσαλονίκης
2. Νευροχειρουργική Κλινική, Ιπποκράτειο Γενικό Νοσοκομείο Θεσσαλονίκης

Σκοπός: Η ενεργοποίηση της οδού MAPK αποτελεί κεντρικό βιολογικό χαρακτηριστικό πολλών παιδιατρικών γλοιωμάτων χαμηλού βαθμού (pLGG) και έχει μεταβάλει τη θεραπευτική τους προσέγγιση. Σκοπός της μελέτης ήταν η αποτύπωση της θεραπευτικής διαδρομής παιδιών με pLGG και ειδικότερα της θέσης των MAPK-targeted θεραπειών σε σχέση με τις προηγούμενες συστηματικές θεραπείες.

Υλικό και Μέθοδος: Πραγματοποιήθηκε αναδρομική μονοκεντρική καταγραφή 10 ασθενών με pLGG, με έτη διάγνωσης 2013–2024 και καταληκτική ημερομηνία συλλογής δεδομένων την 26/09/2026. Η εκτίμηση της ανταπόκρισης βασίσθηκε στην τεκμηρίωση των ιατρικών φακέλων και δεν ήταν κεντρικά τυποποιημένη κατά RANO-LGG.

Αποτελέσματα: Η διάμεση ηλικία στη διάγνωση ήταν 6,75 έτη (εύρος 0,47–15,5). Συχνότερη εντόπιση ήταν η οπτική οδός/υποθάλαμος (4/10), 2/10 ασθενείς είχαν γλοίωμα οπτικής οδού σχετιζόμενο με NF1. BRAF V600E ανιχνεύθηκε σε 3/10 ασθενείς και επιβεβαιωμένη σύντηξη KIAA1549::BRAF σε 2/10. Στοχευμένη θεραπεία της οδού MAPK ξεκίνησε σε 9/10 ασθενείς: dabrafenib/trametinib σε 4, trametinib σε 2 και selumetinib σε 3. Σε 4/9 αποτέλεσε την πρώτη συστηματική θεραπεία, ενώ σε 5/9 εντάχθηκε μετά από προηγούμενες θεραπευτικές γραμμές, αποτυπώνοντας τη μετάβαση από συμβατικές προσεγγίσεις προς μοριακά κατευθυνόμενη θεραπεία. Σε έναν ασθενή το trametinib διακόπηκε πρώιμα λόγω τοξικότητας και η ανταπόκριση δεν ήταν αξιολογήσιμη. Πρόοδος ή υποτροπή καταγράφηκε σε 9/10 ασθενείς. Στους 7 έως την πρώτη πρόοδο νόσου, η διάμεση τιμή ήταν 30 μήνες (εύρος 3–102,1). Μεταξύ των 9 ασθενών που ξεκίνησαν στοχευμένη θεραπεία, η τελευταία διαθέσιμη αξιολόγηση κατέγραψε σταθερή νόσο σε 4/9, ενώ 5/9 δεν ήταν αξιόπιστα αξιολογήσιμοι ως προς την ακτινολογική ανταπόκριση. Και οι 10 ασθενείς ήταν εν ζωή κατά την καταληκτική ημερομηνία συλλογής δεδομένων. Η διάμεση διάρκεια παρακολούθησης ήταν 55 μήνες στους 9 ασθενείς με διαθέσιμα δεδομένα.

Συμπεράσματα: Στην καθημερινή κλινική πράξη υπάρχει τάση για μετατόπιση της θεραπευτικής στρατηγικής των pLGG προς τη στοχευμένη αναστολή της οδού MAPK, τόσο ως πρώιμη όσο και ως μεταγενέστερη θεραπευτική επιλογή. Παρά την εκτεταμένη χρήση των MAPK inhibitors, η ετερογένεια των προηγούμενων θεραπειών, οι διακοπές λόγω τοξικότητας και η μη τυποποιημένη απεικονιστική αξιολόγηση περιορίζουν την ασφαλή εκτίμηση του αντικειμενικού ποσοστού ανταπόκρισης. Η εμπειρία αυτή υποστηρίζει την ανάγκη για συστηματική μοριακή ταυτοποίηση και προοπτική καταγραφή τόσο της απεικονιστικής ανταπόκρισης όσο και της ανοχής στη μακροχρόνια θεραπεία.