

XX Congresso della Società GITMO

RIUNIONE NAZIONALE GITMO

ROMA, ERGIFE PALACE HOTEL, 7-8 MAGGIO 2026

L'assistenza al paziente pediatrico con
patologia autoimmune sottoposto a CAR-T

Valentina De Cecco

inf coordinatore

Ospedale Bambino Gesù Roma Trapianto emopoietico e terapie cellulari e geniche

Disclosures of **Name Surname**

Company name	Research support	Employee	Consultant	Stockholder	Speakers bureau	Advisory board	Other

CART-T AUTOIMMUNI

Le malattie autoimmuni pediatriche sono SFIDA medicina attuale
Se forme severe e refrattarie alle terapie convenzionali

FUTURO INCERTO DELLA MALATTIA
QUALITA' DELLA VITA SCADENTE



SOLUZIONI INNOVATIVE E PERSONALIZZATE

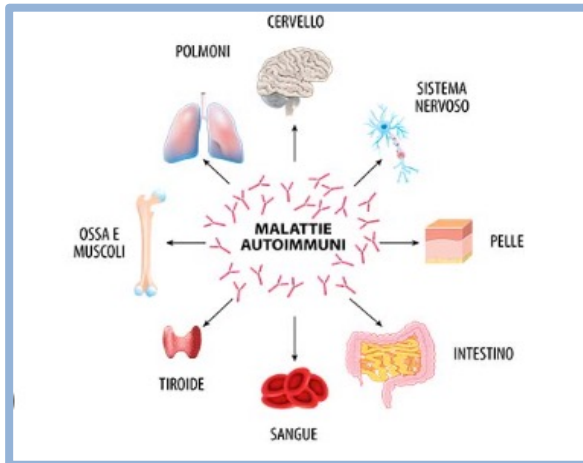
Produzione anomala di anticorpi

L'autoimmunità è una reazione del sistema immunitario che non riconoscendo più come propri i tessuti e le cellule di cui è composto l'organismo, li aggredisce.

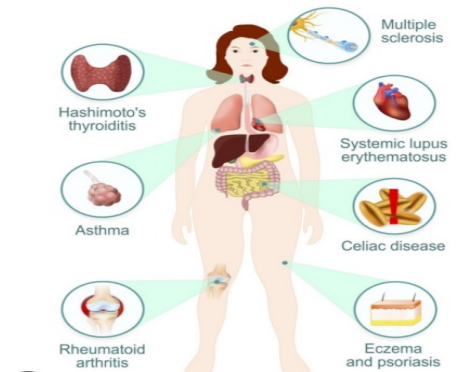
Strutture endogene SELF

Strutture esogene NON SELF

L'organismo produce anticorpi contro le strutture self crea cascata infiammatoria



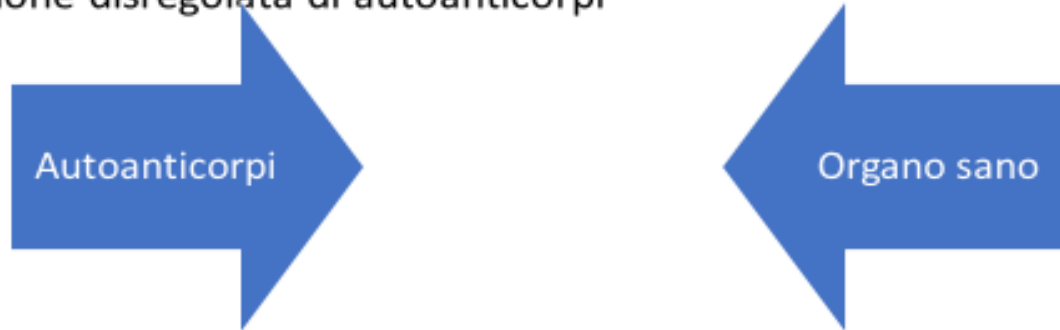
AUTOIMMUNE DISEASES



21 malattie rare

PATOLOGIE AUTOIMMUNI SISTEMICHE

Produzione disregolata di autoanticorpi



Possono essere colpiti più organi ed è richiesto management multidisciplinare

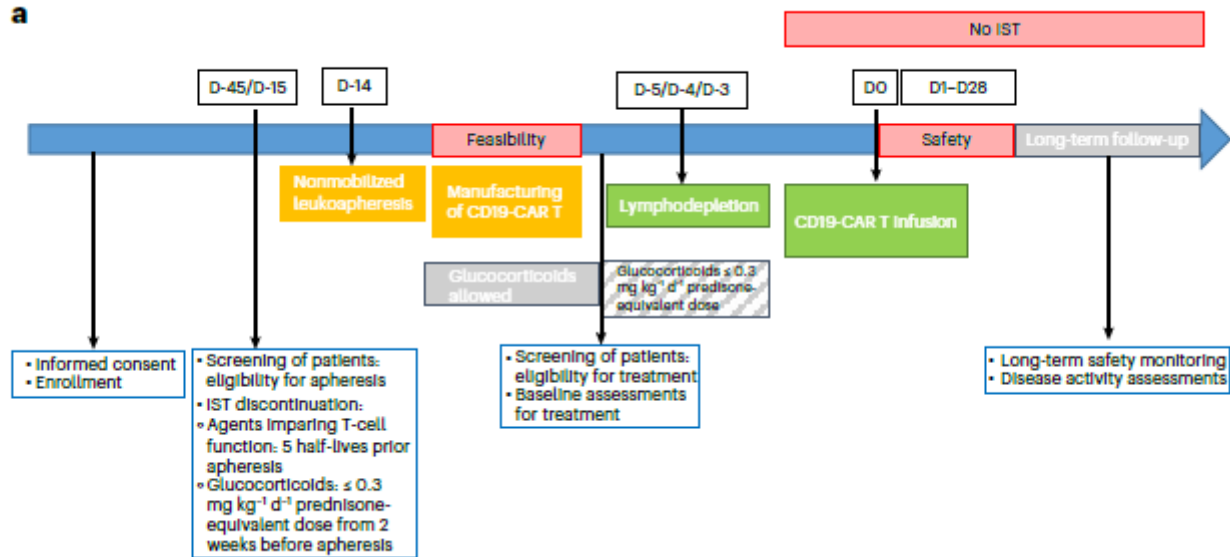
- LUPUS ERITEMATOSO SISTEMICO
- DERMATOMIOSITE
- SCLEROSI SISTEMICA

(emolitica autoimmune) Talassemia mayor



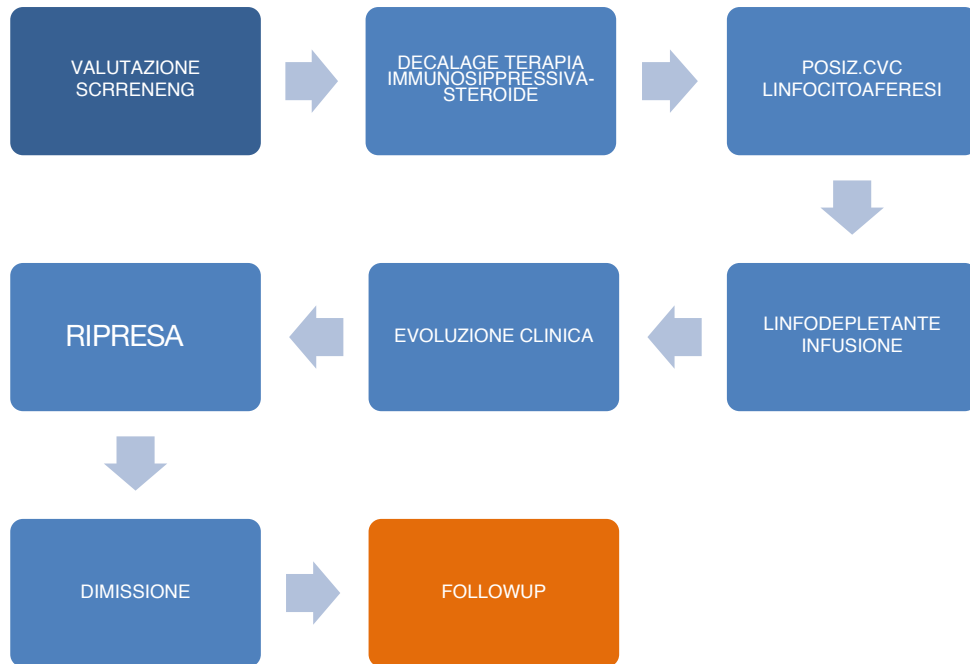
RESET COMPLETO DEL SISTEMA IMMUNITARIO

PERCORSO



<https://doi.org/10.1038/s41591-025-04191-8> nature medicine

Anti-CD19 CAR T cells for pediatric patients with treatment-refractory autoimmune diseases. Marco Becilli, Franco Locatelli et al;2026



PERCORSO

PROPOSTA DI PRESA
IN CARICO DAI
REUMATOLOGI



NUOVO APPROCCIO

CAR-T Cell CD 19

ESPANSIONE CAR_T



DEPLEZIONE CELLULE B iperreattive-RESET IMMUNITARIO



MIGLIORAMENTO DEI SINTOMI

REMISSIONE DALLA MALATTIA LIBERI DA IMMUNOSOPPRESSIONE



MUTIPROFESSIONALITA'

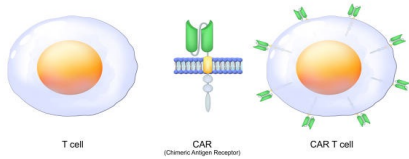
MEDICI INFERMIERE DI RICERCA

STEP 1

Continua attività con il centro trial
Formazione e comunicazione attiva

Corretta infusione del prodotto
Gestione dei prelievi
calendarizzazione

Chimeric antigen receptor T cell



PRODOTTO

- TRATTATI CON PRODOTTO CD19-CAR_Lenti
- VETTORE LENTIVIRALE
- 7-15 GG DI STOP DELLA TERAPIA IMMUNOSOPPRESSIVA
- LINFOCITOAFERESI A FRESCO – RILASCIATE A FRESCO
- USO NON RIPETITIVO
(autorizzato AIFA)

Ripresa della terapia immunosopp. e SUCCESSIVO DECALAGE DELLA TERAPIA IMMUNOSOPPRESSIVA

LINFODEPLETANTE

6 PAZIENTI

**ASSENZA DI TERAPIA IMMUNOSOPPRESSIVA PER 7GG PRIMA
DELL'INFUSIONE**

» CICLOFOSFAMIDE/FLUDARA

EVOLUZIONE

CRS grado I / no instabilità emodinamica

ICANS / GRADO I (risolto dopo 4gg)

INFEZIONI GESTIBILI breve e follow-up (16 mesi media)

RECUPERO EMATOLOGICO

LATE RECOVERY EMATOLOGICA (2 CASI)



**PAZIENTI COMPLESSI CRONICI ALTAMENTE
FRAGILI CON DIVERSE COMMORBILITA'**

Table 1 | Characteristics of patients at baseline

Characteristics	cSLE-OPBGO01	JDM-OPBGO02	cSLE-OPBGO03	JDM-OPBGO04	JDM-OPBGO05	cSLE-FAU001	cSLE-FAU002	JSSc-FAU003
Age at infusion	17	12	17	13	5	15	17	15
Sex	Female	Male	Female	Female	Female	Female	Female	Female
Ethnicity	White	White	White	White	White	White	African American	White
Body mass Index	21.6	18.3	38.3	17.8	23.1	22.8	36.8	14.9
Weight (kg)	50	31	98	39	20	59	83	42
Height (cm)	152	130	160	148	93	161	151	168
Disease	cSLE ^a	JDM ^b	cSLE ^a	JDM ^a	JDM ^a	cSLE ^a	cSLE ^a	JSSc ^c

								Sm U1-RNP ribosomal P SSA/Ro
Skin	+	+	+	+	+	+	+	+
Joints/muscles	+	+	+	+	+	+	+	+
Kidney	Class II/class VLN	-	Class IV/class VLN	-	-	Class IV LN hemodialysis	Class IV/class VLN	-
Lung	ILD/PAH	-	ILD/DAH	-	ILD	-	-	ILD/PAH (historical)
Heart	-	-	-	-	-	-	-	-
Gastrointestinal	-	-	-	-	-	-	-	-
Hematology	+	-	+	-	-	+	+	-
Serositis	+	-	+	-	-	+	+	-
Others	-	Calcinosis universalis	Optical neuritis	Calcinosis universalis	Calcinosis (elbows)	-	-	-

Others	-	Calcinosis universalis	Optical neuritis	Calcinosis universalis	Calcinosis (elbows)	-	-	-
Disease activity score	SLEDAI-2k=22	mDAS=8 sDAS=9	SLEDAI-2k=38	mDAS=8 sDAS=9	mDAS=9 sDAS=5	SLEDAI-2k=23	SLEDAI-2k=24	mRSS=42 JAS=22
Prior IST								
Glucocorticoids	+	+	+	+	+	+	-	-
HCO	+	+	+	+	+	+	+	-
Azathioprine	+	-	-	-	-	+	+	-
MMF	+	+	+	+	+	+	+	+
Rituximab	+	+	-	+	+	-	-	+
Belimumab	+	-	-	-	-	+	+	-
JAK inhibitors	-	-	-	+	-	-	-	-
MTX	-	+	-	+	+	-	+	+
CNI inhibitors	-	+	-	+	+	-	-	-
CYC	+	+	+	-	-	+	-	-
IVIGs	+	+	+	+	+	+	-	+
Plasmapheresis	-	+	+	+	+	-	-	-
Others	-	-	-	infliximab	Anakinra	-	-	Tocilizumab nintedanib

^aAccording to the 2019 EULAR/ACR criteria. ^bAccording to the 2017 EULAR/ACR criteria. ^cAccording to the 2013 EULAR/ACR criteria. LN is classified according to ISN/RPS 2003. Prior IST: +, received; -, not received. "Historical" refers to antibodies that were negative at baseline but had been previously detected in the patient's medical history. PAH, pulmonary arterial hypertension; DAH, diffuse alveolar hemorrhage; mDAS, muscle disease activity score; mRSS, modified Rodnan skin score; JAS, Juvenile Systemic Sclerosis Severity Score; HCO, hydroxychloroquine; MMF, mycophenolate mofetil; MTX, methotrexate; CNI, calcineurin inhibitors; organ involvement: +, involved; -, not involved.

CASI CLINICI

- » 2 CASI DI DERMATOMIOSITE :
25gg ricovero
- Contatto tra clinici per l'evoluzione-confronto sulla terapia
- CRS GRADO1
- Lesioni nodulari cutanee avambracci ascellari e diffuse
- Azione dermatologica (già in trattamento)
- Monitoraggio delle lesioni e trattamento topico ogni 48 h e se necessario
- Attività fisioterapica in stanza
- Miglioramento performance
- Ad oggi fuori dalla terapia con recovery ematologica

età 12-15a

REUMATOLOGI
DERMATOLOGHI
FKT

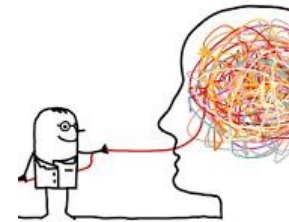


PIANO DI CURA INTEGRATO

LES -17a

- » Obesità-Diabete tipo 1 gestito al domicilio
- » Insufficienza respiratori da lesione aspergillare pregressa
- » Ossigeno terapia e B-pap notturna
- » Mobilità compromessa
- » Situazione socio familiare complicata
- » Trattamento psicoterapeutico in atto
- » *CRS GRADO 1 EMODINAMICA CONTROLLATA*
- » *NEUROTOX 0*

EVOLUZIONE POST CAR



SVEZZAMENTO-
OSSIGENO-BPAP

**Fisioterapia
respiratoria**

- Consulenza
broncopneumologica



OBESITÀ-
ALLETAMENTO
Debolezza,astenia
diarrea moderata,
tachic.

Fragilità ossea

- Fisioterapia motoria
- Psicoterapia



MUCOSTE ,NAUSEA
Alimentazione scarsa
Cali glicemici

**Nutrizionista
Dietista
endocrinologo**



CURE INTEGRATE

- » RECOVERY EMATOLOGIACA
- » VALUTAZIONE MULTIDIMENSIONALE
- » TRASFERIMENTO DELLA RAGAZZA AL CENTRO DI RIABILITAZIONE
- » AMBIENTE PROTETTO
- » OSSERVAZIONE CONTINUA DECORSO CLINICO
- » DIMISSIONE PROTETTA

ASSISTENTI SOCIALI
PSICOLOGO



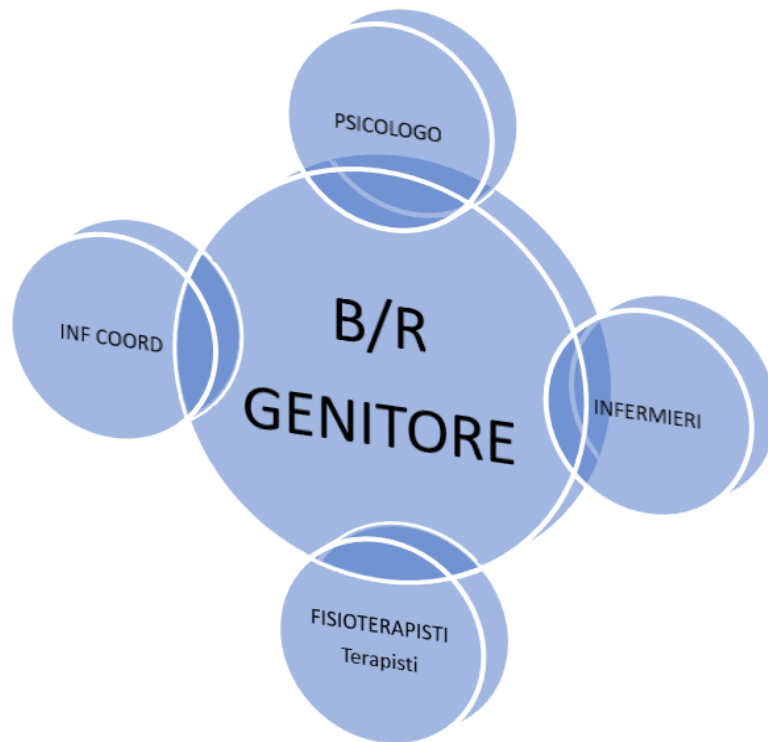
CARTA VINCENTE

CONFRONTO

RIUNIONI MULTIPROFESSIONALI



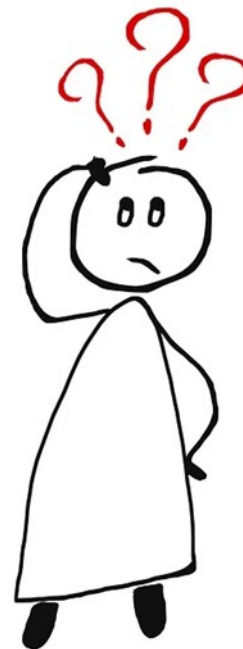
SCELTE TERAPEUTICHE



xtended Data Table 2 | Safety profile of zoropocabtagene-autoleucel in childhood-onset autoimmune diseases

Safety profile Events	N (%) All patients: 8	
CRS*		
Grade 3-4	0	
Grade 1-2	6/8 (75)	
ICANS*		
Grade 3-4	0	
Grade 1-2	1/8 (12.5)	
Hematotoxicity[§]	Grade 1-2	Grade 3-4
Neutropenia	1/8 (12.5)	4/8 (50)
Anemia	6/8 (75)	2/8 (25)
Thrombocytopenia	1/8 (12.5)	0
Hypogammaglobulinemia[#]	5/8 (62.5)	
Infections	All grade 2 [§]	
1-3 months	3/8 (37.5)	
	<ul style="list-style-type: none"> • 1/8 <i>C. difficile</i> colitis • 2/8 URTI (<i>Human Parainfluenza Virus type 1; Influenza A</i>) 	
3-6 months	5/8 (62.5)	
	<ul style="list-style-type: none"> • URTI: 5/8 (<i>Rhinovirus; Respiratory syncytial virus</i>) • UTI: 1/8 (<i>P. mirabilis</i>) 	
6-12 months	4/8 (50)	
	<ul style="list-style-type: none"> • all URTI (<i>Rhinovirus, Adenovirus, Enterovirus</i>) 	
12-18 months	2/8 (25)	
	<ul style="list-style-type: none"> • all URTI (<i>Rhinovirus; C. pneumoniae</i>) 	
18-24 months	2/8 (25)	
	<ul style="list-style-type: none"> • all URTI (<i>Rhinovirus</i>) 	

TOX



CONCLUSIONE

- **MIGLIORAMENTO QUADRO CLINICO**
- **REGRESSIONE DEL DANNO D'ORGANO**
- **ANNULLATI LE COMPLICANZE DA IMMUNOSOPPRESSIONE**
- **MIGLIORAMENTO DELLA QUALITA' DI VITA**
- **EFFETTI A DISTANZA**

Questa opzione potenzialmente curativa offre un beneficio sostanziale per i pazienti pediatrici altamente pretrattati o quelli con malattia aggressiva e in rapida evoluzione, compresa la regressione del danno d'organo cronico, risparmiando al contempo gli effetti collaterali associati alle terapie immunosoppressive prolungate. Il follow-up prolungato sarà cruciale per valutare la sicurezza a lungo termine e la durata della risposta.

GRAZIE!

valentina.dececco@opbg.net



