

CARATTERISTICHE CLINICHE REALI E MODELLI DI TRATTAMENTO DEI PAZIENTI CON COLANGITE BILIARE PRIMITIVA NEGLI STATI UNITI

Nisreen Shamseddine et al.

Ipsen Biopharmaceuticals Inc, Cambridge, MA

🔍 Introduzione

- I pazienti con colangite biliare primaria (PBC) sono a rischio di progressione verso la malattia epatica in fase terminale.
- L'acido ursodesossicolico (UDCA) e l'acido obeticolico (OCA) sono trattamenti attualmente approvati per la PBC negli Stati Uniti. Un trattamento ritardato può avere un impatto negativo sulla prognosi della PBC.
- Questo studio ha valutato le caratteristiche cliniche e le modalità di trattamento dei pazienti con PBC durante il loro percorso terapeutico.

🔍 Metodi

- Questo studio retrospettivo di coorte ha utilizzato i dati IQVIA PharMetrics® Plus (2016-2022).
- Sono state create tre coorti di pazienti non mutuamente esclusive:
- pazienti con PBC non trattata di nuova diagnosi (coorte di nuova diagnosi),
- pazienti che hanno iniziato la terapia di prima linea (UDCA) (coorte 1L)
- pazienti che hanno iniziato la terapia di seconda linea o più (OCA/fibrati ± UDCA) (coorte 2L+).
- La data indice è stata definita come la diagnosi iniziale di PBC, l'inizio della terapia 1L o l'inizio della terapia 2L, rispettivamente per ciascuna coorte.
- Le caratteristiche di base, misurate 12 mesi prima dell'indice, sono state riassunte per ogni coorte. Per la coorte con nuova diagnosi, sono stati descritti la sequenza del trattamento e il tempo di inizio del trattamento 1L, sulla base dell'analisi di Kaplan-Meier (KM).
- Per la coorte 1L sono stati descritti il tempo di interruzione della Tx 1L e il tempo di inizio della Tx 2L. Il tempo all'interruzione del Tx 2L è stato riassunto per la coorte 2L+.

🔍 Risultati

- Un totale di 1.549, 1.462 e 158 pazienti ha soddisfatto i criteri di eleggibilità ed è stato incluso nelle coorti di nuova diagnosi, 1L e 2L+, rispettivamente.
- Il carico di comorbidità al basale era il più elevato nella coorte 2L+, seguita dalla coorte 1L e da quella di nuova diagnosi; anche il tasso di prurito al basale era il più elevato nella coorte 2L+.
- Nella coorte di nuova diagnosi, con un follow-up mediano di 18,3 mesi, 1.018 (65,8%) pazienti hanno ricevuto ≥1 Tx dopo la diagnosi iniziale. Mentre il tempo mediano dalla diagnosi iniziale di PBC all'inizio della 1L è stato di 1,2 mesi, il 27,2% dei pazienti non ha iniziato alcuna terapia a 4 anni dalla diagnosi in base all'analisi KM.
- Nella coorte 1L, con un follow-up mediano di 19,9 mesi, 440 (30,1%) pazienti hanno interrotto la terapia 1L (tempo mediano di interruzione della terapia 1L: 51,0 mesi); 121 (8,3%) hanno iniziato la terapia 2L.
- Nella coorte 2L+, con un follow-up mediano di 15,1 mesi, 23 (14,6%) pazienti hanno interrotto la 2L Tx e il tempo mediano di interruzione della 2L Tx non è stato raggiunto.

🔍 Conclusioni

- Questa analisi suggerisce che i pazienti con PBC in regime di 2L+ presentano il carico di comorbidità più elevato.
- Inoltre, nonostante le terapie approvate, una percentuale non banale di pazienti con PBC sembra rimanere non trattata anni dopo la diagnosi e il tasso di inizio della terapia 2L appare basso, evidenziando un bisogno insoddisfatto in questa popolazione.