

MIGLIORAMENTI NELLO STATO DI SALUTE GENERALE E NEL BENESSERE RIPORTATI DAI PAZIENTI AFFETTI DA COLANGITE BILIARE PRIMARIA TRATTATI CON SELADELPAR NELLO STUDIO RESPONSE TRIAL

Sonal Kumar et al.

Gastroenterology and Hepatology, Weill Cornell Medical College, New York, NY, USA

Introduzione

- La colangite biliare primitiva (PBC) è una malattia epatica cronica, progressiva, autoimmune e colestatica che può essere debilitante e compromettere in modo significativo la qualità della vita correlata alla salute (HRQoL).
- Nello studio di fase 3 RESPONSE, seladelpar (SEL), un delpar (agonista selettivo del PPAR-delta) primo nella sua classe, ha portato a miglioramenti significativi nei marcatori biochimici della colestasi e del prurito rispetto al placebo (PBO).
- Qui si riporta lo stato di salute generale dei pazienti nel RESPONSE sulla base del PBC-40, una misura di esito specifica per la PBC, riferita dai pazienti, dei sintomi e della HRQoL.

Metodi

- Nello studio RESPONSE, i pazienti con PBC che avevano una risposta inadeguata o intolleranza all'acido ursodesossilico, fosfatasi alcalina $\geq 1,67 \times$ limite superiore della norma (ULN) e bilirubina totale $\leq 2 \times$ ULN hanno ricevuto quotidianamente 10 mg di SEL per via orale o PBO (randomizzazione 2:1) per 12 mesi.
- È stata condotta un'analisi post hoc delle risposte a 3 domande PBC-40 sullo stato di salute generale (A, stato di salute generale attuale; B, stato di salute generale prima della diagnosi di PBC; C, stato di salute generale attuale rispetto a 12 mesi fa) nella popolazione complessiva e nei pazienti con prurito da moderato a grave (MSP) al basale (punteggio della scala di valutazione numerica del prurito [NRS] ≥ 4).
- Una scala di risposta a 5 punti per A e B variava da “scarso” a “eccellente”; C variava da “molto peggiore” a “molto migliore”. Le risposte sono state valutate separatamente.

Risultati

- Dei 193 pazienti arruolati in RESPONSE (SEL, n = 128; PBO, n = 65), 72 pazienti appartenevano al gruppo MSP (SEL, n = 49; PBO, n = 23). Al basale, la durata media (SD) della PBC nella popolazione complessiva e nel gruppo MSP era rispettivamente di 8,3 (6,6) e 7,5 (5,9) anni.
- Nella popolazione complessiva, il 14% e il 37% dei pazienti hanno riferito che il loro stato di salute generale prima della diagnosi (B) era “eccellente” e “molto buono” rispetto al 2% e al 12% al basale in RESPONSE (A).
- Nel gruppo MSP, il 7% e il 42% dei pazienti hanno riportato uno stato di salute generale pre-diagnosi (B) “eccellente” o “molto buono” rispetto all'1% e al 5% al basale nello studio RESPONSE (A). Nella popolazione complessiva, il 29% dei pazienti trattati con SEL rispetto al 9% dei pazienti trattati con PBO ha riferito che il proprio stato di salute generale era “molto migliore” al mese 12 rispetto al basale nello studio RESPONSE (C).
- Analogamente, nel gruppo MSP, il 39% dei pazienti trattati con SEL rispetto al 13% dei pazienti trattati con PBO ha riferito che il proprio stato di salute generale era “molto migliore” al mese 12 rispetto al basale nello studio RESPONSE (C).

Conclusione

- Un numero maggiore di pazienti ha riferito uno stato di salute generale e un benessere peggiori rispetto a prima della diagnosi di PBC.

- I pazienti trattati con SEL hanno riportato miglioramenti maggiori dello stato di salute generale e del benessere dopo 12 mesi rispetto a quelli trattati con PBO.