

PBC

Il registro italiano della colangite biliare primitiva: approfondimenti da uno studio di coorte nazionale

Eugenia Nofit et al

Fondazione Irccs San Gerardo dei Tintori di Monza, Università degli Studi di Milano-Bicocca, Monza, Italy

ⓧ Introduzione

- La colangite biliare primitiva (PBC) è una rara malattia epatica autoimmune. I dati epidemiologici in Italia sono limitati. Per affrontare questa carenza, nel 2019 è stato istituito il Registro Italiano PBC per raccogliere dati retrospettivi e prospettici.
- Questo studio fornisce una panoramica del Registro e dei dati raccolti.

ⓧ Metodi

- Il Registro include dati demografici, biochimici, di stadiazione e di trattamento. Gli esami alla diagnosi sono quelli eseguiti da 3 mesi prima fino a 30 giorni dopo la diagnosi; gli esami a 1 anno dopo UDCA sono stati eseguiti 11–15 mesi dopo l'inizio del trattamento.
- Le variabili categoriali sono riportate come frequenze (%), le variabili continue come media $\pm$ DS oppure mediana e intervallo interquartile. ALP, AST, ALT e GGT sono espressi come rapporti rispetto al rispettivo ULN, mentre la bilirubina come mg/dL.

ⓧ Risultati

- Dal 2019 al 2025 l'arruolamento è aumentato da 128 a 3310 pazienti (37 ± 22 pazienti/mese). Sono stati analizzati 3199 pazienti (111 esclusi per dati mancanti). Il Registro coinvolge 69 centri attivi, di cui 61 inseriscono dati da tutta Italia (40 Nord, 9 Centro, 20 Sud/Isole). 2836 pazienti

(89%) erano donne con età media di $55,3 \pm 12$ anni, BMI $24,96 \pm 4,64$, e 3067 (96,7%) erano caucasici.

- Il follow-up mediano è stato di 6,9 anni [3,1;12,6]. 2018 pazienti (80,3%) hanno riferito assenza di consumo di alcol, 456 (18,1%) consumavano $<10/20$ g/die (donne/uomini) e 40 (1,6%) $>10/20$ g/die (donne/uomini).
- I non fumatori erano 1724 (70%), gli ex fumatori 423 (17,2%) e i fumatori attuali 315 (12,8%). Alla diagnosi, tra i 1840 pazienti (57,5%) con esami disponibili, i valori medi erano: ALP 1,59 [1,07;2,67], AST 1,25 [0,83;2,10], ALT 1,32 [0,80;2,18], GGT 3,90 [1,89;7,49], bilirubina 0,65 [0,50;0,92] mg/dL. La biopsia epatica è stata eseguita in 666 pazienti (20,8%) e l'elastografia transiente in 653 (20,4%), con una stiffness epatica mediana di 6,6 kPa [5,0;9,1].
- Dopo un anno di UDCA, 809 pazienti (25,3%) presentavano: ALP 1,11 [0,78;1,64], AST 0,78 [0,59;1,06], ALT 0,70 [0,48;1,10], GGT 1,26 [0,70;2,78], bilirubina 0,60 [0,44;0,83] mg/dL. Valori elevati di ALP ($>1,67$) sono stati osservati in 185 pazienti (22,9%). Tuttavia, considerando l'intera coorte, 923 pazienti (28,8%) hanno iniziato una terapia di seconda linea: 429 (46,5%) con Acido Obeticolico (OCA), 277 (30%) con fibrati, 163 (17,7%) con terapia combinata (OCA e fibrato). Per quanto riguarda le nuove terapie mirate ai PPAR, 125 pazienti (13,5%) hanno iniziato Elafibranor e 52 (5,6%) Seladelpar.

Conclusione

- Il Registro Italiano PBC fornisce un quadro nazionale della PBC, supportando il monitoraggio e la gestione della malattia. Il continuo impegno dei centri partecipanti migliorerà la completezza dei dati e rafforzerà l'affidabilità delle future analisi.