

PBC

Caratteristiche demografiche e cliniche di pazienti statunitensi real-world con colangite biliare primitiva e fosfatasi alcalina compresa tra 1 e 1,67 vs $\geq 1,67 \times$ limite superiore della norma nonostante il trattamento con acido ursodesossicolico

Rachel H. Mackey et al

University of Pittsburgh School of Public Health, Pittsburgh, United States

Introduzione

- Nei pazienti con colangite biliare primitiva (PBC) trattati con acido ursodesossicolico (UDCA), una fosfatasi alcalina (ALP) $\geq 1,67 \times$ limite superiore della norma (ULN) rappresenta una soglia riconosciuta che giustifica l'inizio di una terapia di seconda linea (2L).
- Tuttavia, considerando le crescenti evidenze secondo cui qualsiasi valore di ALP $> \text{ULN}$ aumenta il rischio di esiti clinici avversi, abbiamo caratterizzato pazienti real-world con PBC e ALP compresa tra 1 e $1,67 \times \text{ULN}$.

Metodi

- I pazienti adulti con PBC sono stati identificati in un database statunitense di claims collegato a dati di laboratorio (HealthVerity Marketplace) dal 01/01/2015 al 15/05/2025 al primo verificarsi di: ≥ 2 codici diagnostici (dx) di PBC oppure un risultato positivo per anticorpi anti-mitocondrio associato a ≥ 1 codice dx di PBC o qualsiasi ALP $\geq 1,5 \times \text{ULN}$.
- La data indice dell'ALP era il primo valore di ALP $> \text{ULN}$ alla/successivo alla data di diagnosi di PBC, preceduto direttamente da ≥ 6 mesi di trattamento con UDCA (e senza terapia 2L). Sono stati esclusi i pazienti con carcinoma epatico, insufficienza epatica o trapianto, cirrosi scompensata oppure assenza di 12 mesi di copertura medica continuativa prima/alla data indice dell'ALP.

- I pazienti sono stati categorizzati in base al primo valore di ALP compreso tra 1 e $1,67 \times \text{ULN}$ oppure al primo valore di ALP $\geq 1,67 \times \text{ULN}$. A causa della sovrapposizione tra i due gruppi, non è stato eseguito alcun test statistico.

⊗ Risultati

- Le caratteristiche dei pazienti con ALP compresa tra 1 e $1,67 \times \text{ULN}$ ($n = 796$) rispetto ai pazienti con ALP $\geq 1,67 \times \text{ULN}$ ($n = 341$) erano: sesso maschile 10% vs 13%, età media 58 vs 55 anni, durata precedente del trattamento con UDCA 2,5 vs 2,3 anni, proporzione con ipertensione portale 5% vs 7%, diabete 23% vs 19%, malattia renale cronica 10% vs 11%, osteoporosi 14% vs 11%, fatigue 22% vs 20%, disturbi del sonno 11% vs 11%, ipertensione arteriosa 49% vs 40%, iperlipidemia 56% vs 49%, utilizzo di statine 32% vs 26%, obesità 23% vs 16%, depressione o ansia 33% vs 27% e prurito 7% vs 13%.
- Nei pazienti con ALP compresa tra 1 e $1,67 \times \text{ULN}$ rispetto a quelli con ALP $\geq 1,67 \times \text{ULN}$, rispettivamente il 68% e l'89% presentavano ≥ 1 caratteristica associata a esiti peggiori, inclusi cirrosi compensata (23% vs 30%), albumina < limite inferiore della norma (7% vs 16%), bilirubina totale $> 0,6 \times \text{ULN}$ (25% vs 44%), aumento di alanina o aspartato aminotransferasi (ALT $> \text{ULN}$ [37% vs 67%] oppure AST $> \text{ULN}$ [26% vs 66%]), APRI $\geq 1,5$ (2% vs 10%), FIB-4 $\geq 3,25$ (9% vs 13%), PBC avanzata (criteri di Rotterdam: 2% vs 8%) oppure GLOBE $> 0,3$ (24% vs 39%).

⊗ Conclusione

- I pazienti con PBC trattati con UDCA e ALP elevata compresa tra 1 e $1,67 \times \text{ULN}$ presentano un carico sostanziale di comorbidità, sintomi e fattori di rischio biochimici epatici e clinici per progressione della malattia, analogamente a quanto osservato nei pazienti con ALP $\geq 1,67 \times \text{ULN}$.