Malattie rare: Nicastro (Sigenp) â??terapie per Alagille meno prurito, piÃ¹ qualitÃ di vitaâ??

Descrizione

default watermark

(Adnkronos) â?? â??La sindrome di Alagille Ã¨ una malattia genetica rara e multisistemica. Ã? causata dalla mutazione di un singolo gene, JAG1 o NOTCH2, che determina alterazioni in diversi organi e apparati. Lâ??organo piÃ¹ frequentemente coinvolto Ã¨ il fegato, dove si osserva una riduzione dei dotti biliari (duttopenia). Questo provoca una ritenzione della bile, una condizione chiamata colestasi. Tuttavia, la sindrome puÃ² interessare anche cuore, reni, occhi, scheletro e altri organi. Per quanto riguarda i bisogni clinici dei bambini con sindrome di Alagille, uno dei problemi principali Ã¨ il prurito colestatico, spesso molto intenso e invalidante. Questo sintomo ha un forte impatto sulla qualitÃ della vita, sia dei pazienti sia delle loro famiglie. Alla colestasi sono inoltre associati altri disturbi, come il deficit di vitamine liposolubili (A, D, E e K) e la comparsa di xantomi, accumuli di colesterolo nella pelle che possono essere visibili, antiestetici e talvolta deformanti. Una delle piÃ¹ recenti innovazioni terapeutiche per la sindrome di Alagille Ã¨ odevixibat, un farmaco che inibisce un trasportatore intestinale degli acidi biliari, coinvolto nel cosiddetto circolo enteroepatico. Bloccando questo meccanismo, il farmaco aumenta lâ??eliminazione degli acidi biliari con le feci e riduce i loro livelli nel sangue. Come dimostrato dallo studio clinico di fase 3 ASSERT, questo porta a una significativa riduzione del prurito colestatico e a un miglioramento della qualitÃ del sonno nei bambini trattatiâ?•. CosÃ¬ allâ??Adnkronos Salute Emanuele Nicastro dellâ??Epatologia pediatrica e dei trapianti dellâ??ospedale di Bergamo Asst Papa Giovanni XXIII e Vicepresidente della Sigenp, SocietÃ italiana di gastroenterologia epatologia e nutrizione pediatrica.

â??Il raggiungimento di obiettivi clinici come il controllo del prurito Ã¨ di importanza fondamentale nella gestione di una malattia cronica come la sindrome di Alagille â?? spiega Nicastro -. Ridurre il prurito e migliorare il sonno significa diminuire la stanchezza, lo stress familiare e favorire apprendimento, attenzione e benessere psicologico dei bambini. Sebbene esistano anche pazienti adulti, la malattia si manifesta spesso giÃ in etÃ pediatrica con queste caratteristicheâ?•. Un â??ulteriore aspetto cruciale Ã¨ che il prurito severo rappresenta talvolta unâ??indicazione al trapianto di fegato. Evitare o ritardare il trapianto Ã¨ particolarmente importante nei bambini con comorbiditÃ cardiache e renali, per i quali un intervento cosÃ¬ complesso comporta rischi maggioriâ?• conclude.

EI SRL - P.IVA IT16017671005

â??

cronaca

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione
Febbraio 5, 2026
Autore
redazione

default watermark