



COMUNICATO STAMPA

Importante studio italiano presentato al Congresso Europeo ESPGHAN (Società Europea di Gastroenterologia, Epatologia e Nutrizione Pediatrica) in corso a Vienna

NUOVO FARMACO COMBATTE LA COLESTASI INTRAEPATICA FAMILIARE, RARA MALATTIA GENETICA DEL FEGATO: FINORA SI POTEVA RISOLVERE SOLO CON INTERVENTI CHIRURGICI O TRAPIANTO DI ORGANO

Lo straordinario risultato, non replicato al momento in nessun altro Paese europeo, presentato nella capitale austriaca nel corso del maggiore appuntamento del settore, è stato ottenuto grazie alla collaborazione tra i vari centri specialistici italiani coordinati dall'Area Fegato dalla società scientifica SIGENP (Società Italiana di Gastroenterologia, Epatologia e Nutrizione Pediatrica) presieduta dal prof. Claudio Romano

Vienna, 16 maggio 2023. Si chiama Odevixibat ed è risultato il trattamento efficace in pazienti pediatriche affetti da PFIC (colestasi intraepatica familiare), una rara malattia genetica del fegato che causa **gravi alterazioni nella sintesi e nel trasporto della bile determinando un prurito spesso invalidante, problemi della crescita e dell'apprendimento**. Il gruppo italiano - coordinato dal **dott. Angelo Di Giorgio, pediatra dell'Ospedale Giovanni XXIII di Bergamo** - attraverso un programma di uso compassionevole di Odevixibat, ha ottenuto una significativa riduzione degli acidi biliari sierici e del prurito con un netto miglioramento della qualità di vita dei piccoli pazienti. E' la prima volta che si ottiene un simile risultato con una terapia farmacologica senza il ricorso a interventi chirurgici.

“La nostra casistica di 25 bambini trattati è molto numerosa considerato che si tratta comunque di una malattia rara – spiega il dr. Di Giorgio- Alcune malattie del fegato possono causare colestasi, una condizione caratterizzata dall'incremento nel sangue di sostanze normalmente eliminate con la bile, come la bilirubina e gli acidi biliari. L'incremento nel sangue di queste sostanze, in particolare gli acidi biliari, può causare prurito talmente severo da provocare lesione cutanee da grattamento e disturbi del sonno tali da compromettere il normale sviluppo psicomotorio dei bambini. In alcuni casi la perdita del sonno notturno a causa del prurito (sia nel bambino affetto che nei genitori che lo assistono) può rendere difficili le normali relazioni tra i vari membri della famiglia.”

Fino a poco tempo fa non esisteva nessuna terapia medica efficace per ridurre il livello degli acidi biliari nel sangue e quindi attenuare il prurito, perciò i bambini colpiti da PFIC erano costretti a sottoporsi ad interventi chirurgici complessi fino al trapianto di fegato. Ma la buona notizia di una nuova arma farmacologica arriva dal congresso europeo in corso a Vienna. “Nel dicembre 2022 è stata messa in commercio in Italia una nuova molecola, Odevixibat. Il nostro gruppo dell'Area Fegato della SIGENP – spiega Di Giorgio – ha potuto preliminarmente trattare i bambini attraverso un programma di uso compassionevole; sono onorato di presentare i nostri risultati a Vienna, ringrazio tutti i centri italiani che hanno collaborato”.

“Il risultato eccellente raggiunto da questo studio evidenzia come l’Area Fegato della SIGENP si colloca tra i più importanti gruppi di ricerca a livello europeo e internazionale”, afferma il prof. **Claudio Romano, Presidente della SIGENP** e Direttore dell’UO di Gastroenterologia Pediatrica e Fibrosi Cistica **dell’Università di Messina**.

Ufficio Stampa Biomedica per SIGENP

sigenp@biomedica.net

389 5713391

Coordinamento

Sabrina Smerrieri – Daniele Razzoli