

# Novità terapeutiche nella Colangite Sclerosante Primitiva

Prof. Marco Carbone e Dr.ssa Laura Cristoferi

*Centro per lo studio delle Malattie Autoimmuni del Fegato*

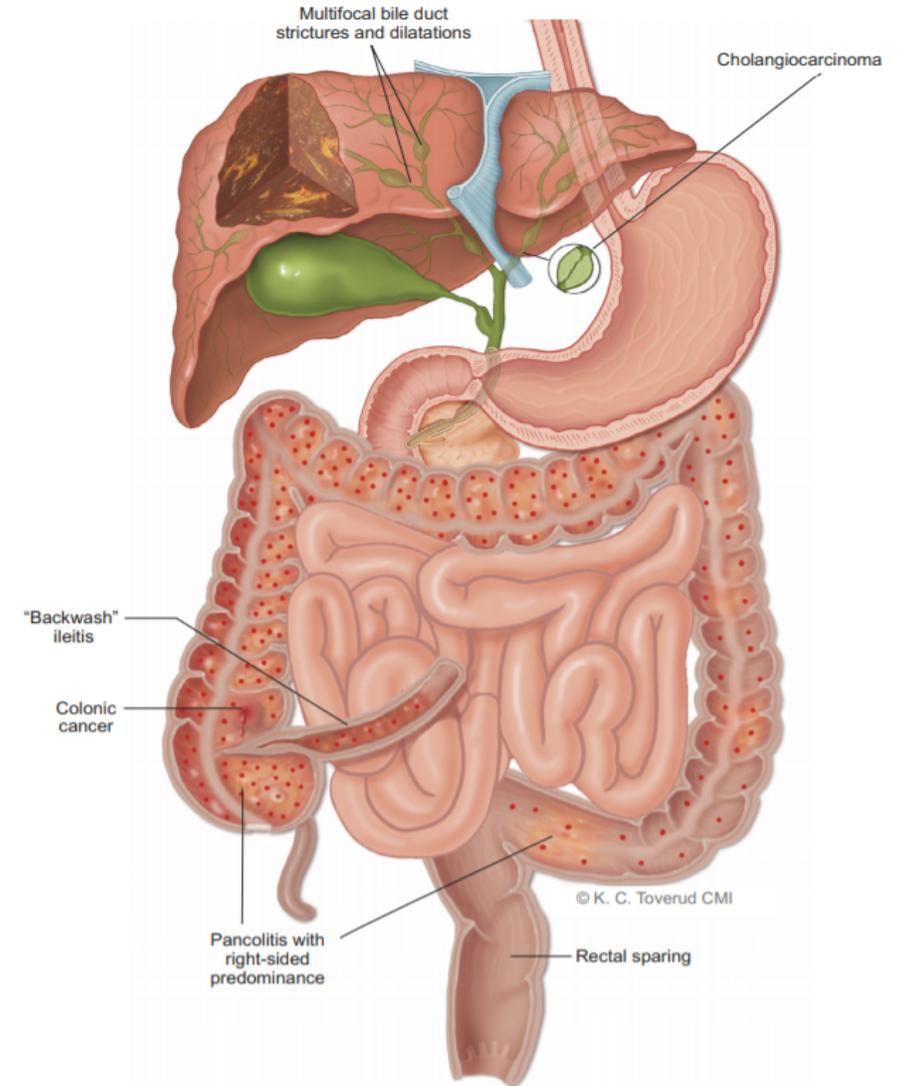
*Divisione di Gastroenterologia*

*Università di Milano Bicocca, Milano*

*Fondazione IRCCS San Gerardo dei Tintori, Monza*

# Colangite Sclerosante Primitiva

- Malattia rara, colestatica, immuno-mediata
- Presentazione clinica eterogenea
- Nessuna terapia registrata
- Patogenesi non nota
- Assenza di biomarcatori prognostici e di attività di malattia affidabili

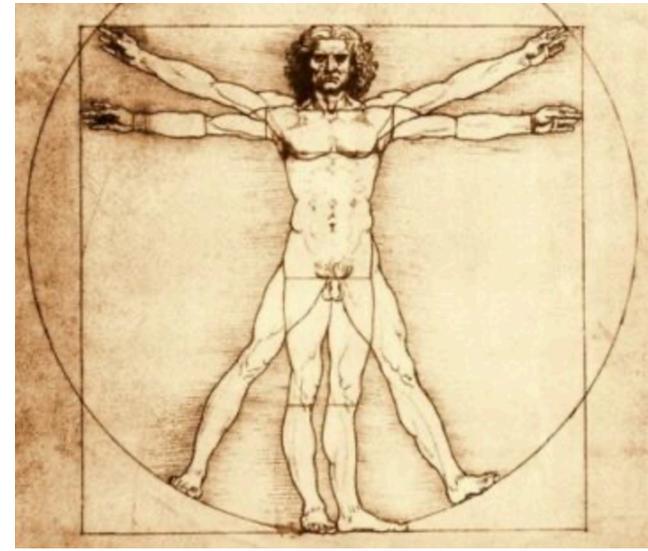


# Colangite Sclerosante Primitiva

## Medicina personalizzata e

### Ambulatorio paziente-centrico e ricerca-centrico

- Slot orari ampliati
- Infermiera dedicata disponibile durante la durata dell'ambulatorio
- Possibilità di esecuzione di Fibroscan<sup>®</sup>, risonanza magnetica e ileocolonscopia (per i pazienti con MICI) durante o nelle 24 ore successive/precedenti la visita
- Prelievo di campioni biologici con infermiera di ricerca presente in corso di visita a scopo di ricerca



# Colangite Sclerosante Primitiva

## Medicina personalizzata e

### Ambulatorio paziente-centrico e ricerca-centrico

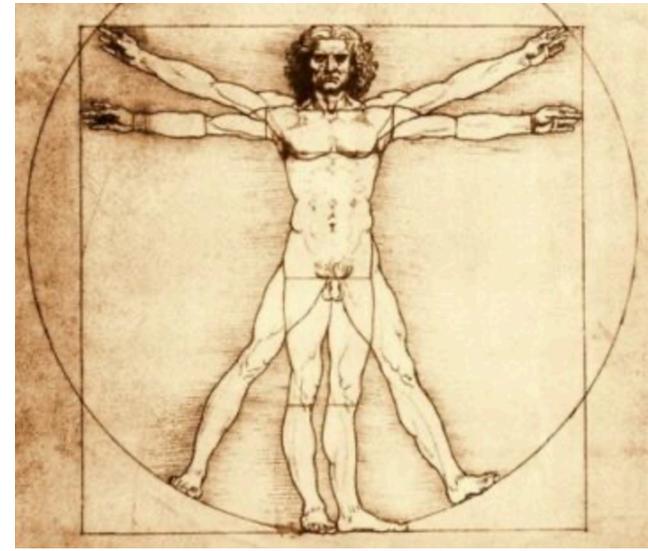
Esami di secondo livello personalizzati

#### **Protocolli di Risonanza**

- ✓ Personalizzati per lo studio delle vie biliari e del parenchima epatico
- ✓ Standardizzati → più riproducibili per migliorare il monitoraggio
- ✓ Arricchiti con software di intelligenza artificiale

#### **Ileocolonscopia (per i pazienti con MICI)**

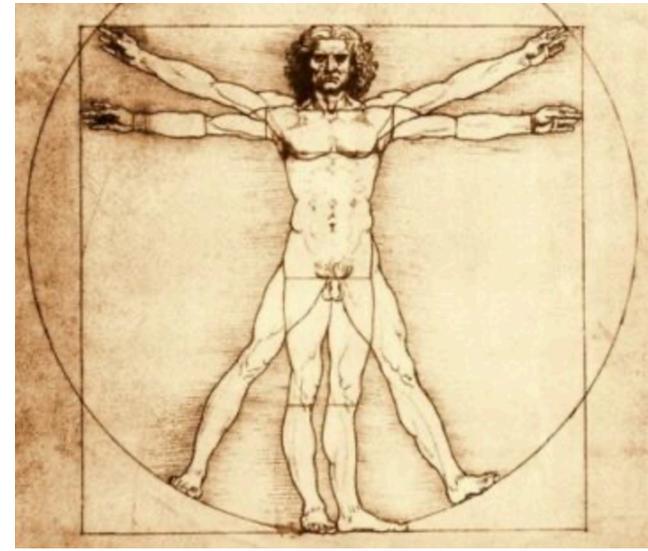
- ✓ Slot dedicati per il monitoraggio della displasia intestinale
- ✓ Endoscopisti specializzati con metodiche innovative



# Colangite Sclerosante Primitiva

## Medicina personalizzata e

## Ambulatorio paziente-centrico e ricerca-centrico



**Medici dedicati** alla malattia biliare e **team multidisciplinari** per i casi più complessi

- ✓ Clinici dedicati
- ✓ Radiologi e patologi esperti di CSP
- ✓ Endoscopisti biliari
- ✓ Gastroenterologi specializzati in IBD

# Colangite Sclerosante Primitiva

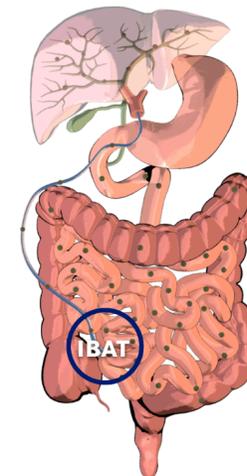
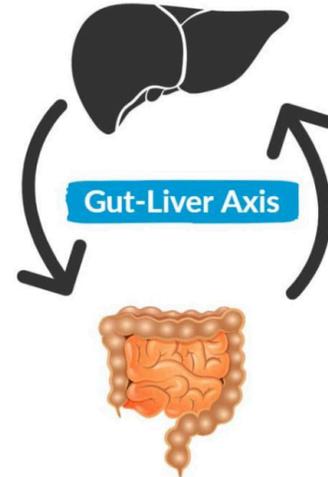
## Trial sperimentali ad arruolamento attivo in Italia

### Efficacia di Vancomicina Orale in PSC (supported by AMAF, GLI, AIRCS, PSC pediatric foundation)

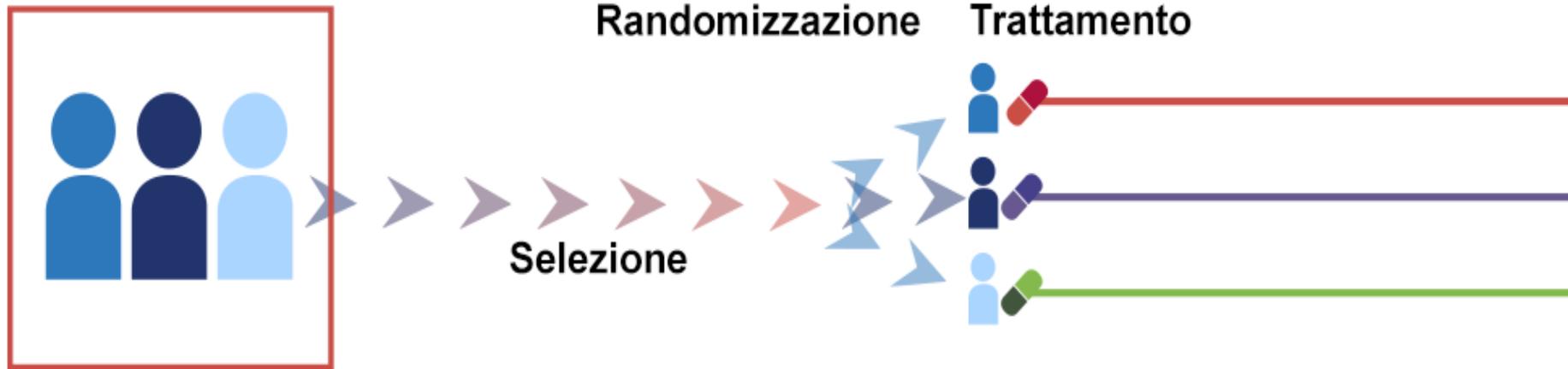
- Fase 2
- Monocentrico, Monza
- Studio di efficacia e analisi microbiota intestinale

### IBAT inibitori in PSC (A3907, Albireo; Volixibat, Mirum)

- Fase 2 e 3
- Multicentrico europeo
- Studio di sicurezza ed efficacia sullo sviluppo della malattia e sul prurito
- Centri attivi: Padova (dr.ssa Cazzagon), Monza (prof. Carbone, prof. Invernizzi)



## Trial clinico: caratteristiche



- **Controllati:** i pazienti sottoposti al trattamento (anche a differenti dosaggi) vengono confrontati con un gruppo di controllo che assume o la terapia «standard» o il placebo.
- **Randomizzati:** i pazienti vengono assegnati in modo del tutto casuale a diversi bracci di studio.
- **Doppio cieco:** né il paziente né l'operatore sanitario sanno che tipo di trattamento sta facendo il paziente.

# Colangite Sclerosante Primitiva

## Trial sperimentali: pro e contro alla partecipazione

### PRO

- Avere accesso precoce a **molecole sperimentali** spesso non presenti sul mercato
- Pazienti **strettamente monitorati** con esami strumentali e biochimici
- **Rapido accesso al farmaco** al termine della sperimentazione per i pazienti del braccio placebo
- **Filantropia** – malattia rara con necessità di farmaci da registrare



### CONTRO

- Possibilità di prendere il placebo
- Impegno ad attenersi ai protocolli



## Centro Malattie Autoimmuni del Fegato



Pietro INVERNIZZI  
Marco CARBONE  
Laura CRISTOFERI  
Alessio GERUSSI  
Federica MALINVERNO  
Miki SCARAVAGLIO  
Daphne D'AMATO

# Ringraziamenti



Hepatological Diseases  
(ERN RARE-LIVER)



Fondazione IRCCS  
San Gerardo dei Tintori

Sistema Socio Sanitario



Regione  
Lombardia