

## COLANGITE SCLEROSANTE PRIMITIVA

La colangite sclerosante primitiva è una malattia rara che colpisce i grandi dotti biliari intra ed extraepatici. Queste strutture sono deputate al trasporto della bile che è prodotta ininterrottamente dalle cellule epatiche, gli epatociti. Tale sostanza è una soluzione contenente i sali biliari, necessari per la digestione dei grassi e delle vitamine liposolubili e per l'eliminazione della bilirubina e del colesterolo. Le strutture appena descritte sono colpite da un processo infiammatorio che lentamente causa la formazione di tessuto cicatriziale, attorno ai dotti biliari. Questo processo fibrotico genera un progressivo restringimento ed indurimento dei dotti che ostacolano quindi il deflusso della bile. Questo può causare infezioni che coinvolgono le vie biliari (colangiti), inoltre la malattia con la formazione di cicatrici nel tessuto epatico, può condurre alla cirrosi più o meno lentamente. La colangite sclerosante primitiva è un importante fattore di rischio per la formazione di tumori del fegato e delle vie biliari.



La causa della colangite sclerosante primitiva non è del tutto nota. Le evidenze dimostrano che il danno alle vie biliari possa essere causato da una disfunzione del sistema immunitario precipitata da un agente tossico o da un evento infettivo, in individui geneticamente predisposti. L'associazione frequente con le malattie infiammatorie croniche intestinali (morbo di Crohn e rettocolite ulcerosa) ha fatto supporre una patogenesi comune ed un ruolo dell'asse intestino-fegato. Può anche associarsi con l'epatite autoimmune a definire lo spettro patologico definito Overlap Syndrome.

- Trattamenti attualmente disponibili: Una terapia mirata e specifica per la colangite sclerosante primitiva non esiste. L'unica cura possibile e risolutiva è il trapianto di fegato, che viene proposta al paziente quando la malattia epatica è avanzata. Le terapie utilizzate sono atte a tamponare le complicanze. Le infezioni a partenza dalle vie biliari vengono prontamente trattate con trattamenti antibiotici.

# R09-Sostegno del Registro Nazionale della Colangite Sclerosante Primitiva – Anno 2023-

**Coordinatore:** Prof. Pietro Invernizzi

**Comitato Scientifico:** Prof. Marco Carbone, Prof. Marco Marzoni, Prof. Vincenza Calvaruso, Dott.ssa Nora Cazzagon, Prof. Vincenzo Cardinale, Prof. Umberto Vespasiani Gentilucci.

La Colangite Sclerosante Primitiva è una malattia rara, immuno-mediata che colpisce le vie biliari ed è caratterizzata da presentazione clinica ed evoluzione estremamente eterogenee.

Attualmente non è disponibile un registro nazionale ufficiale che offra a pazienti, medici ed istituzioni dei dati di epidemiologia accurati, né modalità per una sorveglianza della malattia nel tempo. A tal proposito i centri di riferimento per lo studio della PSC, coordinati dal *Centro delle Malattie Autoimmuni del Fegato di Monza* (Università di Milano-Bicocca) hanno attivato a fine 2022 un Registro di malattia che coinvolge numerosi ospedali italiani in tutte le regioni. Tale registro è associato ad una biobanca che raccoglie campioni biologici (*sangue, urine, feci, bile, tessuti*) di individui affetti da tale malattia.

L'obiettivo principale del registro nazionale PSC e della biobanca PSC è quello di:

1. monitorare la malattia sul territorio italiano
2. studiarne le diverse presentazioni cliniche e decorso clinico per comprenderne i fattori di rischio
3. definire innovative modalità di monitoraggio dell'evoluzione della malattia
4. individuare nuovi possibili target terapeutici
5. monitorare l'efficacia e sicurezza dei nuovi farmaci che entreranno nella pratica clinica

Come associazione di pazienti riteniamo di estrema importanza sensibilizzare tutti i pazienti a sostenere questo registro.

Scopo del progetto è contribuire economicamente alle seguenti spese:

- Supporto data manager e lab manager dedicati al mantenimento registro e biobanca euro **8.000**
- Spese annuali di spedizione di campioni biologici euro **1.000**
- Mantenimento annuale del database e biobanca euro **1.000**

**Costo totale euro 10.000**

Sostieni il progetto effettuando un bonifico sul cc di Amaf (IBAN: IT69A0303233430010000004495). Nella causale inserire: **Erogazione liberale a sostegno del progetto R09.**

Si prega di mandare sempre una mail a [info@amafonlus.it](mailto:info@amafonlus.it) di conferma dell'avvenuto bonifico, specificando nome, cognome, indirizzo, codice fiscale, luogo e data di nascita (dati utili all'emissione del documento valido per la detrazione fiscale).