



14 Settembre 2025

**Giornata Internazionale
di sensibilizzazione sulla
COLANGITE BILIARE PRIMITIVA**

INSTANT BOOK



Sommario

INTRODUZIONE	3
---------------------------	----------

Colangite biliare primitiva: “Una malattia semplice da diagnosticare e con varie opzioni terapeutiche, ma ancora poco conosciuta”	5
--	----------

Intervista al Prof. Pietro Invernizzi

Direttore Scientifico della Fondazione IRCCS San Gerardo dei
Tintori di Monza e del Centro per le Malattie Autoimmuni del Fegato (MAF)

Colangite biliare primitiva: “Dopo quasi dieci anni, abbiamo a disposizione nuove armi per combattere la malattia”	8
---	----------

Intervista a Davide Salvioni

Presidente di AMAF (Associazione Malattie Autoimmuni del Fegato)

Colangite biliare primitiva, servono azioni concrete per garantire ai pazienti cure adeguate	10
---	-----------

Intervista all’Onorevole Ilenia Malvasi

Commissione XII “Affari sociali” della Camera dei Deputati

Coordinamento editoriale a cura di Emanuele Conti

Testi e interviste a cura di Francesco Fuggetta e Roberta Venturi



INTRODUZIONE

Le **malattie epatiche autoimmuni** insorgono quando il sistema immunitario, per ragioni ancora sconosciute, si rivolge contro il fegato: a causa di questa reazione anomala, l'organo subisce un'infiammazione cronica e progressiva che ne compromette gradualmente la funzionalità. Fra queste condizioni, sebbene tutte rare, **la più diffusa è la colangite biliare primitiva (PBC)**, che in Europa colpisce circa 22 persone su 100mila, principalmente donne tra i 45 e i 65 anni (circa nove pazienti su dieci sono femmine). In Italia, la prevalenza della PBC è stimata in [27,9 casi per 100mila abitanti](#), con un'incidenza annuale di 5,31 casi ogni 100mila abitanti. È una malattia cronica e progressiva che danneggia i piccoli dotti biliari: se non trattata adeguatamente, causa danni al fegato che possono portare a fibrosi, cirrosi e, nella fase terminale della malattia, all'insufficienza epatica e alla necessità di un trapianto di fegato.

Ogni anno, la seconda domenica di settembre si celebra in tutto il mondo la **Giornata Internazionale di sensibilizzazione sulla Colangite Biliare Primitiva (PBC Awareness Day)**, che nel 2025 cade esattamente il 14 settembre. **In occasione dell'evento, Osservatorio Malattie Rare, grazie al contributo non condizionante di Gilead, ha realizzato questo instant book con l'obiettivo di diffondere e migliorare la conoscenza della PBC in Italia e di evidenziare il ruolo dell'[Associazione Malattie Autoimmuni del Fegato \(AMAF\)](#)**, da molti anni impegnata a supportare le famiglie che convivono con la patologia e a garantire la tutela dei loro diritti.

LA MALATTIA

La PBC è stata chiamata per decenni cirrosi biliare primitiva, nome che è stato cambiato nel 2015 alla luce del fatto che non tutti i pazienti che ne sono affetti sviluppano cirrosi. **La causa esatta della malattia è sconosciuta, ma si ritiene che probabilmente consista in una combinazione di fattori autoimmuni, genetici e ambientali.** Come detto, la patologia interessa le vie biliari, in particolare i piccoli dotti intraepatici, una fitta rete di canalicoli deputati al trasporto della bile che è prodotta ininterrottamente dalle cellule epatiche, gli epatociti. Proprio tramite i piccoli dotti, la bile raggiunge le vie biliari maggiori e poi la colecisti, dove è immagazzinata prima di essere secreta nell'intestino. Quando questi dotti vengono distrutti, **la bile si accumula nel fegato con effetti tossici, provocando infiammazione e formazione di cicatrici (fibrosi).** Questo può portare alla cirrosi e alle complicazioni associate, poiché il tessuto cicatriziale sostituisce il tessuto epatico sano compromettendo progressivamente la funzionalità del fegato.

I sintomi più comuni all'esordio della PBC sono prurito, stanchezza e secchezza della bocca e degli occhi, anche se la malattia si presenta asintomatica in un'elevata percentuale di pazienti. Se la condizione evolve fino alla cirrosi possono comparire altre manifestazioni, tra cui: formazione di piccoli depositi di colesterolo periorcari (xantelasmi) e a livello delle articolazioni e dei palmi delle mani e dei piedi (xantomi), colorazione gialla della cute e degli occhi (ittero), gonfiore alle caviglie e ai piedi (edemi), accumulo di liquido nell'addome (ascite), sanguinamento gastrointestinale causato dalla rottura delle vene dell'esofago, stato di denutrizione, confusione mentale e rallentamento motorio (encefalopatia porto-sistemica). Tra le complicanze della PBC è abbastanza frequente l'osteoporosi.

La colangite biliare primitiva può associarsi ad altre malattie autoimmuni: le più comuni sono la sindrome di Sjögren (patologia che colpisce le cellule delle ghiandole salivari e lacrimali) e i disordini autoimmuni della tiroide.



LA DIAGNOSI

Poiché molte persone con colangite biliare primitiva non presentano sintomi, **la malattia viene spesso scoperta accidentalmente per la presenza di alterazioni negli indici biochimici del fegato**, in analisi del sangue eseguite di routine o per altri motivi. Una volta sospettata la malattia, viene eseguito un **esame del sangue per verificare la presenza di anticorpi antimitocondriali (AMA)**: questo test è positivo in quasi tutte le persone con PBC. Una biopsia epatica, in cui un piccolo campione di tessuto viene prelevato con un sottilissimo ago, può aiutare a confermare la diagnosi, anche se oggi viene utilizzata raramente. Anche gli studi di imaging possono essere un'opzione, per escludere altre malattie o per valutare ulteriormente i pazienti una volta diagnosticata la PBC.

IL TRATTAMENTO

La **terapia di prima linea** per la colangite biliare primitiva è rappresentata dall'acido ursodesossicolico (UDCA), un acido biliare naturalmente presente nella bile, che si è mostrato efficace nel prevenire la progressione della fibrosi se assunto nelle fasi iniziali della malattia. Esiste, però, una percentuale di pazienti, oscillante tra il 25 e il 40 per cento del totale, che non tollerano l'UDCA o che mostrano una risposta inadeguata a questo farmaco.

Di recente, dopo il ritiro dal mercato dell'acido obeticolico, la Commissione Europea ha concesso l'autorizzazione all'immissione in commercio condizionata a due nuove terapie di seconda linea per la patologia: entrambi i farmaci, elafibranor e seladelpar, si basano sull'attivazione dei recettori PPAR (Peroxisome Proliferator-Activated Receptors), che hanno un ruolo chiave nel regolare l'omeostasi degli acidi biliari e del metabolismo lipidico, nonché l'infiammazione e la fibrosi epatica.

Nelle fasi avanzate di malattia si rendono necessari trattamenti per le complicanze della cirrosi e, in ultima istanza, il **trapianto di fegato**, anche se ormai, grazie alle terapie farmacologiche, il ricorso a questa opzione si è drasticamente ridotto.

Sul [sito web dell'associazione AMAF](#) è possibile consultare l'elenco dei centri di riferimento italiani per la diagnosi e il trattamento della colangite biliare primitiva.

Fonti:

[OMaR - Osservatorio Malattie Rare](#)

[Orphanet Italia](#)

[ERN RARE-LIVER - European Reference Network on Rare Hepatological Diseases](#)

[NORD - National Organization for Rare Disorders](#)

[PBC Foundation](#)

[AMAF APS - Associazione Malattie Autoimmuni del Fegato](#)

[EpaC ETS](#)



Colangite biliare primitiva: “Una malattia semplice da diagnosticare e con varie opzioni terapeutiche, ma ancora poco conosciuta”

Intervista al Prof. Pietro Invernizzi

Direttore Scientifico della Fondazione IRCCS San Gerardo dei Tintori di Monza e del Centro per le Malattie Autoimmuni del Fegato (MAF)

La colangite biliare primitiva (PBC) è una malattia del fegato, nello specifico una colangiopatia di natura autoimmune. Come molte malattie autoimmuni, colpisce più spesso le donne rispetto agli uomini, con un rapporto di circa 9-10 femmine ogni maschio; classicamente è una patologia dell'adulto e dell'anziano, che può esordire anche nei giovani adulti. Inoltre, è una malattia rara che, secondo gli studi epidemiologici condotti nel corso degli anni, in diverse aree del mondo, ha un'incidenza e una prevalenza stabili a livello globale.

Il sistema immunitario di chi sviluppa la PBC si comporta in modo anomalo e aggredisce i dotti biliari, un sistema di drenaggio della bile composto da piccoli tubicini che si trovano nel fegato. La loro funzione è quella di raccogliere la bile prodotta dal fegato e portarla nell'intestino, dove serve per assorbire i grassi; la bile è quindi uno degli elementi deputati alla digestione e all'assorbimento degli alimenti.

“Nella PBC, ad essere colpiti sono solo i piccoli dotti biliari, e questo distingue la malattia da altri tipi di colangiopatie, come la colangite sclerosante primitiva, che invece interessa i dotti di tutte le dimensioni”, spiega il **Prof. Pietro Invernizzi**, Direttore Scientifico della Fondazione IRCCS San Gerardo dei Tintori di Monza e del Centro per le Malattie Autoimmuni del Fegato (MAF). “La conseguenza è che la bile non può essere drenata fuori dal fegato e ristagna: questa condizione è chiamata stasi della bile, o colestasi. **La bile è composta dagli acidi biliari, sostanze tossiche che, se ristagnano nel fegato, creano danni progressivi all'organo,** danni che possono essere evidenziati nel sangue da due indicatori di colestasi, chiamati fosfatasi alcalina e gamma GT. Questi enzimi epatici, se elevati, ci consentono quindi di confermare la presenza della malattia e sono utili anche per monitorare l'efficacia del trattamento, perché la terapia ottimale, che controlla completamente la malattia, porta alla normalizzazione di questi indicatori”.

I SINTOMI DELLA PBC

“Come tutte le condizioni croniche di sofferenza del fegato, anche **la colangite biliare primitiva è spesso asintomatica**”, precisa Invernizzi. **“Quando però compaiono dei sintomi, quelli più frequenti sono il prurito e l'ittero.** Non conosciamo la causa precisa del prurito - un sintomo che si presenta in numerosi pazienti, anche se non in tutti - ma crediamo sia legata alla circolazione nel sangue degli acidi biliari”.

La stasi della bile comporta anche alti valori di bilirubina, e questo porta all'ittero, ossia alla colorazione giallastra della pelle, delle mucose e delle sclere degli occhi. Se invece il livello di bilirubina non è così elevato, il colore giallo è visibile solo nelle sclere, e questo quadro sintomatologico è chiamato sub-ittero.

“Un terzo sintomo, che viene riconosciuto come molto specifico della presenza della malattia, è la cosiddetta “fatigue”, in italiano “astenia”. Fra i colleghi che si occupano di colangite biliare primitiva - prosegue l'esperto - c'è un po' di dibattito sul fatto di ritenerlo un sintomo dovuto alla semplice presenza della patologia: il mio parere è che sia più probabilmente legato allo stadio della PBC e ad altre problematiche, connesse, ad esempio, alla sfera psicologica dei pazienti gravati da una malattia cronica”.

L'IMPORTANZA DEL SOSPETTO DIAGNOSTICO

“La diagnosi della PBC è molto semplice - spiega il Prof. Invernizzi - perché **abbiamo la fortuna di avere dei marcatori nel sangue che sono molto specifici per la malattia: uno di questi è l'autoanticorpo anti-mitocondriale (AMA)**, che si trova in quasi tutti i pazienti (il 95% o più); inoltre, è presente solo nelle persone affette da questa malattia. Perciò, quando abbiamo un'alterazione degli enzimi epatici fosfatasi alcalina e gamma GT, che indicano colestasi, la positività degli AMA ci conduce alla diagnosi”.

“Il test degli AMA è molto diffuso e disponibile in tutti i laboratori, ma **il vero problema è che in presenza di colestasi bisogna pensare alla possibilità di trovarci di fronte alla colangite biliare primitiva**”, sottolinea l'esperto. “Essendo una malattia rara, la missione di chi se ne occupa è farla conoscere sempre di più, perché questi specifici marcatori di autoimmunità vengono testati solo quando c'è un sospetto clinico. **L'obiettivo di noi specialisti, condiviso con le associazioni dei pazienti, è quindi quello di diffondere la conoscenza della malattia**, non solo fra gli epatologi di primo livello, ma anche fra i medici di medicina generale”.

“Oltre agli autoanticorpi anti-mitocondriali, **ci sono anche altri due autoanticorpi antinucleo specifici della PBC, chiamati anti-GP210 e anti-SP100, ma meno spesso presenti nel sangue dei pazienti** (40-50% dei casi)”, prosegue Invernizzi. “Quando presenti e positivi, sono molto utili non solo per fare la diagnosi, ma anche perché hanno un riconosciuto ruolo prognostico: indicano che quel paziente avrà una storia di malattia un po' più veloce e una forma di malattia un po' più aggressiva”.

IL TRATTAMENTO DI PRIMA LINEA

“Tutti i pazienti con diagnosi di PBC vengono trattati con un farmaco di prima linea che appartiene alla categoria degli acidi biliari: l'acido ursodesossicolico (UDCA), oppure l'acido tauroursodesossicolico (TUDCA), composto dall'acido ursodesossicolico e dall'aminoacido taurina”, chiarisce il Prof. Invernizzi. “L'UDCA è l'unico acido biliare che non è tossico, ma rappresentando, nell'uomo, solo l'1% degli acidi che compongono la bile, non è sufficiente a ridurre la tossicità complessiva di questo fluido. Una curiosità: si chiama ursodesossicolico perché la sua percentuale nella bile degli orsi non è l'1% ma l'80-90%. La bile degli orsi viene utilizzata da tantissimo tempo come componente della medicina tradizionale cinese e purtroppo, ancora oggi, nel sud-est asiatico ne esiste una produzione e un commercio illegale”.

“L'acido ursodesossicolico - continua Invernizzi - ha lo scopo di diluire la tossicità della bile ed è molto efficace: **fino al 60-70% dei pazienti in terapia con questo farmaco ottiene un controllo adeguato e duraturo della malattia**. Oltre a ciò, ha un costo bassissimo ed è sostanzialmente privo di effetti collaterali. Tuttavia, il 30-40% dei pazienti non risponde in modo adeguato a questa terapia. Oggi, la modalità per definire la risposta del paziente come adeguata o meno si basa sul valore della fosfatasi alcalina dopo 12 mesi di trattamento di prima linea: se i livelli della fosfatasi alcalina rimangono sopra la norma di almeno 1,5 o 1,67 volte (a seconda dei valori di soglia utilizzati nei diversi Paesi), allora occorrerà passare a un farmaco di seconda linea”.

NUOVE TERAPIE DI SECONDA LINEA

Per diversi anni, in numerosi Paesi del mondo, compresa l'Italia, **come terapia di seconda linea per la PBC è stato utilizzato l'acido obeticolico (OCA)**, farmaco che ha rappresentato a lungo l'unica opzione per i pazienti non responsivi all'UDCA. **Oggi, però, il medicinale non è più disponibile**, perché è stato ritirato dal mercato europeo nel settembre 2024.

“Negli ultimi mesi, tuttavia, due nuove terapie di seconda linea hanno ricevuto l'autorizzazione all'immissione in commercio condizionata in Europa, dopo aver superato con successo le rispettive sperimentazioni cliniche di Fase III”, sottolinea il Prof. Invernizzi. “Le due molecole, chiamate elafibranor e seladelpar, **sono degli agonisti dei recettori PPAR (Peroxisome Proliferator-Activated Receptors)** e hanno una storia di sviluppo che li distanzia di pochi mesi l'uno dall'altro. Prima sono stati messi a disposizione dei medici, anche in Italia, tramite programmi di accesso anticipato; poi, nel maggio scorso, elafibranor ha ottenuto la rimborsabilità da parte dell'AIFA, e ora ci aspettiamo che l'Agenzia Italiana del Farmaco approvi a breve anche seladelpar. La disponibilità di questi due nuovi farmaci - conclude l'esperto - permette quindi agli epatologi di avere a disposizione un valido armamentario terapeutico per contrastare una patologia potenzialmente grave come la colangite biliare primitiva”.



Colangite biliare primitiva: “Dopo quasi dieci anni, abbiamo a disposizione nuove armi per combattere la malattia”

Intervista a Davide Salvioni

Presidente di AMAF (Associazione Malattie Autoimmuni del Fegato)

Dal 2017, i pazienti italiani affetti da una delle quattro **malattie epatiche autoimmuni** (epatite autoimmune, colangite biliare primitiva, colangite sclerosante primitiva e colangite IgG4-positiva) possono contare su un'associazione a loro dedicata: **AMAF (Associazione Malattie Autoimmuni del Fegato)**, che da allora si impegna per migliorare le condizioni di vita di queste persone e dei loro familiari e per la tutela dei loro diritti. **Nel mese di settembre si accendono i riflettori su una di queste patologie in particolare, la colangite biliare primitiva (PBC)**, con una serie di iniziative che hanno l'obiettivo di far conoscere meglio la malattia. Le attività di sensibilizzazione culminano nel PBC Awareness Day, che si celebra la seconda domenica del mese.

“La Giornata Mondiale della Colangite Biliare Primitiva, che quest’anno ricorre il 14 settembre, rappresenta un momento cruciale per ricordare a tutti l’importanza della consapevolezza e dell’informazione”, spiega **Davide Salvioni**, presidente di AMAF. “Nella PBC, infatti, ciò che va innanzitutto considerato è il ruolo fondamentale della diagnosi precoce, che rappresenta la prima necessità per le persone affette dalla patologia. La colangite biliare primitiva esordisce spesso in modo subdolo, con sintomi aspecifici, come stanchezza e prurito, che solo chi conosce la malattia può intercettare. Ecco perché **una maggiore conoscenza della PBC è essenziale, tra la popolazione ma anche tra i medici di famiglia: è ciò che permette una diagnosi tempestiva**, che a sua volta garantisce l’accesso a terapie in grado di contrastare la progressione della patologia”.

“È vero, **la colangite biliare primitiva non ha ancora una cura definitiva** - prosegue il presidente di AMAF - **ma oggi esistono farmaci efficaci che consentono a molti pazienti di raggiungere o addirittura superare una normale aspettativa di vita**. Purtroppo, quest’anno abbiamo assistito con grande preoccupazione, e con profonda delusione, al ritiro dell’acido obeticolico dal mercato europeo. Per i pazienti affetti da PBC questa notizia è stata un duro colpo, un vero e proprio passo indietro, perché questo medicinale rappresentava una speranza nei casi in cui la terapia di prima linea con acido ursodesossicolico non fosse più sufficiente o tollerabile”.

Fortunatamente, però, la ricerca scientifica sulla PBC è in costante evoluzione, e ciò ha portato a una conoscenza sempre più approfondita dei meccanismi alla base della patologia e allo sviluppo di nuovi approcci terapeutici. “Negli ultimi mesi, infatti, **è arrivata una vera e propria svolta nel trattamento della colangite biliare primitiva: l’approvazione, a livello europeo, di due nuovi farmaci di seconda linea, elafibranor e seladelpar**”, conferma Salvioni. “È stata una notizia fantastica, un sospiro di sollievo che attendevamo con ansia. **Per la prima volta dopo quasi dieci anni, abbiamo a disposizione nuove e potenti armi per combattere la progressione della malattia**, basate su un meccanismo d’azione assolutamente innovativo. Elafibranor è già rimborsabile in Italia, il che significa che è concretamente a disposizione; seladelpar seguirà a ruota. Questo significa avere più frecce al nostro arco. **I medici avranno la possibilità di scegliere il trattamento più adatto a ciascun paziente**, offrendo nuove opportunità a chi non mostra una risposta adeguata alla terapia di prima linea. Gli studi clinici su queste due nuove molecole ci danno grandi speranze, non solo per il controllo

della malattia a livello del fegato, ma anche per un miglioramento di sintomi debilitanti come il prurito e la stanchezza, che spesso compromettono significativamente la qualità di vita dei pazienti”.

Ed è proprio un messaggio di speranza quello che il presidente di AMAF rivolge alla comunità della PBC in occasione della Giornata Mondiale dedicata alla patologia. **“È fondamentale che le persone che convivono con la colangite biliare primitiva, siano esse pazienti, caregiver, familiari o amici, sappiano una cosa: che non sono sole”**, è l'appello di Davide Salvioni. “Ci sono migliaia di individui in tutto il mondo che condividono questa esperienza, che comprendono cosa significhi affrontare ogni giorno una malattia come la PBC, cosa significhi ricevere una diagnosi che può spaventare e, nonostante ciò, trovare la forza per riprendere in mano la propria vita. **A livello globale sono numerosi i gruppi di sostegno pronti a offrire servizi e supporto ai pazienti.** L'importante - conclude il presidente di AMAF - è che le persone affette da PBC non esitino a cercare questo aiuto, a unirsi a una comunità che le capisce e le sostiene”.



Colangite biliare primitiva, servono azioni concrete per garantire ai pazienti cure adeguate

Intervista all'Onorevole Ilenia Malavasi

Commissione XII "Affari sociali" della Camera dei Deputati

La colangite biliare primitiva (PBC) è una malattia epatica autoimmune, cronica e progressiva: se non trattata adeguatamente, può comportare lo sviluppo di fibrosi e cirrosi epatica e la necessità di ricorrere, nei casi più gravi, al trapianto di fegato. La PBC colpisce prevalentemente le donne e in genere si manifesta tra i 45 e i 65 anni, con sintomi invalidanti, come stanchezza e prurito, che possono fortemente compromettere il sonno, la capacità lavorativa e la partecipazione alla vita sociale. Tuttavia, una diagnosi tempestiva e un trattamento adeguato possono rallentare l'evoluzione della malattia e permettere a molti pazienti di mantenere una buona qualità di vita. Per questo motivo, è importante che tutti gli attori del sistema salute adottino misure tangibili per favorire una diagnosi precoce della PBC e un'adeguata presa in carico delle persone affette dalla patologia: a porre l'accento sul tema è l'Onorevole Ilenia Malavasi, membro della Commissione XII "Affari sociali" della Camera dei Deputati.

Onorevole Malavasi, quali azioni concrete, a suo avviso, è possibile mettere in atto per agevolare la diagnosi della colangite biliare primitiva?

Credo che nel caso della PBC - come per altre malattie, in particolare quelle rare - occorra lavorare su almeno tre versanti: sensibilizzazione, formazione e ricerca. È importante, infatti, informare la cittadinanza per aumentare la consapevolezza della malattia, affinché le persone si rivolgano al medico quando compaiono i primi sintomi, per favorire una presa in carico precoce. **Conoscere la patologia è sempre il primo punto di partenza** e tutte le iniziative di sensibilizzazione vanno sostenute con forza. Gli stessi medici di medicina generale, però, devono essere messi in grado di riconoscere i primi segnali della PBC, considerando la malattia come una possibile causa e richiedendo esami specifici. Per questo è così **importante la formazione del personale sanitario, e sarebbe auspicabile creare una rete di collaborazione tra medici di base e specialisti di riferimento per la patologia**, come epatologi e gastroenterologi, per favorire un approccio multidisciplinare che è cruciale, specialmente nei casi in cui i sintomi della PBC sono atipici o quando la diagnosi iniziale non è chiara. In questo ambito la digitalizzazione della sanità potrà aiutare, con reti digitali in grado di analizzare dati per arrivare a diagnosi precoci e prese in carico adeguate. Infine, la ricerca. Occorre finanziare gli studi su nuovi biomarcatori, che facilitino una diagnosi sempre più precoce e meno invasiva, oltre a promuovere l'utilizzo dei test diagnostici specifici che sono oggi a disposizione e a sviluppare adeguati strumenti di screening per la fascia di popolazione a rischio: la PBC, infatti, è una patologia più comune nelle donne ed è spesso associata ad altre malattie autoimmuni. Una maggiore attenzione alla medicina di genere rappresenta sicuramente un passo avanti anche per la gestione di questa patologia.

Considerando che, in questi ultimi tempi, per la colangite biliare primitiva sono in arrivo anche in Italia nuove terapie mirate, quanto ritiene importante garantire un accesso tempestivo a questi trattamenti?

L'arrivo di nuove terapie rappresenta una svolta fondamentale per la gestione della PBC, in considerazione della sua natura progressiva e del significativo impatto che i suoi sintomi hanno sulla vita dei pazienti. Occorre però intervenire per far sì che il Fondo Sanitario Nazionale disponga di risorse sufficienti per coprire i costi di questi nuovi trattamenti: **è necessario che l'accesso ai farmaci sia omogeneo su tutto il territorio italiano, garantendo a tutti i pazienti lo stesso diritto di cura** indipendentemente dal luogo di residenza, superando le disomogeneità che oggi non garantiscono equità di accesso e di presa in carico dei pazienti. A tale scopo, **anche in questo ambito rimane centrale promuovere il dialogo, coinvolgendo tutti gli attori del processo decisionale** - Ministero della Salute, AIFA, Regioni, comunità scientifica, associazioni di pazienti, clinici e case farmaceutiche - per identificare rapidamente eventuali criticità e possibili risposte. **L'imperativo che deve guidarci con responsabilità è il tempo: servono processi virtuosi perché non c'è tempo da perdere.** Non mi pare, purtroppo, che questo sia stato il caso dell'acido obeticolico, farmaco per la PBC recentemente ritirato dal mercato: dal mio punto di vista, questa è stata un'occasione persa per rinsaldare quella necessaria alleanza tra pazienti, specialisti e decisori politici che dovrebbe sempre avere come obiettivo finale - e vale la pena ricordarlo - la cura delle persone, l'attenzione ai loro bisogni, l'osservanza dei dati e degli studi clinici. Perché il destinatario finale è sempre il cittadino e in gioco c'è sempre la vita delle persone.

Considerato il significativo impatto che i sintomi invalidanti della colangite biliare primitiva possono avere sulla vita quotidiana dei pazienti, che sono in gran parte donne, ritiene che sia necessario intervenire con politiche mirate volte a fornire alle persone affette dalla patologia un adeguato supporto dal punto di vista lavorativo, psicologico e sociale?

Certamente: l'impatto invalidante dei sintomi della PBC rende essenziale un approccio che vada oltre la semplice gestione medica, perché le manifestazioni della malattia possono compromettere gravemente la capacità lavorativa. Quindi **il primo passo è il riconoscimento della PBC come condizione cronica e invalidante**, per permettere ai pazienti di accedere a tutti i diritti e alle tutele previste per le malattie croniche. Inoltre, la diagnosi di una malattia come la PBC ha un impatto emotivo profondo, che può generare ansia, depressione e senso di isolamento. **Le strutture sanitarie dovrebbero pertanto prevedere percorsi di supporto psicologico** specifici per questi pazienti, facilitando l'accesso ad interventi individuali o di gruppo, anche per combattere lo stigma che, purtroppo, spesso accompagna le patologie croniche. Per affrontare al meglio questi aspetti **penso che sia molto importante un'organica integrazione ospedale-territorio**, per garantire quella multidisciplinarietà che risulta indispensabile per mettere al centro il paziente e dare risposte adeguate al suo bisogno di cura. Come detto, la PBC colpisce prevalentemente le donne, spesso nel pieno della loro vita familiare e lavorativa. I sintomi possono interferire con le relazioni sociali, la cura della propria persona e della famiglia, portando ad un isolamento progressivo: credo che anche in questo caso sia **decisiva la presenza delle associazioni di settore nei processi decisionali che riguardano i pazienti**, non solo per il portato di esperienza che hanno rispetto alla patologia e alle problematiche ad essa correlate, ma anche per il supporto che possono dare alle persone che ne sono affette, accompagnandole e supportandole nei loro percorsi di cura. Un approccio olistico, che consideri cioè l'impatto della PBC sulla vita a 360 gradi, è una necessità che può migliorare significativamente la qualità di vita dei pazienti.

Giornata Internazionale di sensibilizzazione sulla **COLANGITE BILIARE PRIMITIVA**

INSTANT BOOK

Un progetto OMAR realizzato con il contributo non condizionante di



OMAR
OSSERVATORIO MALATTIE RARE

© Osservatorio Malattie Rare 2025

Tutti i contenuti della pubblicazione sono stati redatti nell'ambito dell'attività giornalistica della testata Osservatorio Malattie Rare.