



Lo dimostrano i risultati di uno studio multicentrico internazionale coordinato dall'ospedale pediatrico Bambino Gesù di prossima pubblicazione. Dott. Luca Dello Strologo. "Ricadute importantissime sui programmi di trapianto"



Roma, 5 ottobre 2022 - Il trapianto combinato di rene e fegato è più efficace del solo trapianto di rene per curare i pazienti affetti da acidemia metilmalonica e insufficienza renale causata da questa rara malattia metabolica. Lo dimostra uno studio scientifico multicentrico coordinato dall'ospedale pediatrico Bambino Gesù. I risultati, già presentati durante il decimo congresso dell'International Pediatric Transplant Association (IPTA), saranno a breve pubblicati su una rivista scientifica internazionale.

“Le conclusioni dello studio hanno ricadute importantissime sui programmi di trapianto di moltissimi centri” spiega il dott. Luca Dello Strologo, responsabile del follow-up del trapianto renale dell'Ospedale della Santa Sede.

L'acidemia metilmalonica

L'acidemia

metilmalonica è una malattia rara che colpisce circa 2 persone ogni 100.000. È causata da un difetto congenito che riguarda il metabolismo degli aminoacidi e della vitamina B12. Questo difetto provoca il malfunzionamento di uno specifico enzima che rende impossibile all'organismo metabolizzare le proteine derivate dall'alimentazione, provocando l'accumulo nel sangue di una sostanza chiamata acido metilmalonico. L'accumulo di acido metilmalonico risulta estremamente nocivo per il paziente che va incontro fin dall'epoca neonatale a episodi acuti di scompenso neurometabolico e, a più lungo termine, a insufficienza renale terminale.

Per

ridurre l'accumulo tossico di acido metilmalonico i pazienti devono seguire una dieta povera di proteine insieme ad alcuni farmaci. Nelle forme gravi, sempre più spesso si ricorre al trapianto d'organo: di fegato quando non è presente l'insufficienza renale, di rene o combinato fegato e rene quando è presente insufficienza renale. La diagnosi si effettua con analisi biochimiche e genetiche e in Italia l'acidemia metilmalonica fa parte di quelle malattie soggette a screening neonatale obbligatorio.

Lo studio

I

risultati dello studio multicentrico internazionale coordinato dal dott. Luca Dello Strologo, responsabile del follow-up del trapianto renale del Bambino Gesù, sono stati presentati durante il decimo congresso dell'International Pediatric Transplant Association (IPTA) e saranno a breve pubblicati su una rivista scientifica. Hanno richiesto la collaborazione di 19 grandi centri tra Europa (15) e Stati Uniti (4), e il coinvolgimento di 83 pazienti pediatrici.

Si

tratta della più ampia casistica multicentrica fino a ora raccolta e analizzata. Di tutti i pazienti, 26 (31%) erano stati sottoposti a trapianto di

rene, 24 (29%) a trapianto di fegato e 33 (40%) a trapianto sia di rene che di fegato. I dati di tutta la coorte sono stati statisticamente comparati tra loro per verificare quale soluzione terapeutica risultasse la più efficace.

I risultati

Dalla

comparazione statistica dei dati, è emerso che i pazienti sottoposti a trapianto combinato di rene e fegato o solo di fegato hanno livelli di acido metilmalonico più bassi sia nel sangue che nelle urine rispetto a quelli trapiantati solo di rene. Anche la frequenza delle crisi metaboliche è risultata ridotta nei primi due gruppi.

“Nonostante

il trapianto di rene sia stato utilizzato in circa 1/3 dei casi e nonostante venga indicato come possibile soluzione, i dati dimostrano in maniera inequivocabile che si tratta dell’approccio terapeutico che fornisce i risultati peggiori” aggiunge Dello Strologo.

Anche

il trapianto di fegato ha dato risultati migliori del solo trapianto di rene in termini di efficacia, ma in questo caso a fare la differenza è la precocità dell’intervento. L’età mediana dei trapiantati solo di fegato era infatti nettamente inferiore rispetto a quella delle altre due coorti: 1,8 anni contro gli 11,1 dei trapiantati di rene e i 9,5 dei trapiantati rene/fegato.

“I

dati raccolti ci hanno fatto concludere che nei pazienti con acidemia metilmalonica e insufficienza renale il trapianto di rene isolato non è efficace quanto quello combinato, nonostante in letteratura questo ancora non fosse sostenuto - prosegue il dott. Luca Dello Strologo, coordinatore dello studio - Questi risultati comporteranno la modifica dei programmi di trapianto dei singoli centri per il trattamento dell’acidemia metilmalonica. Il Bambino Gesù ha già modificato la propria strategia e da allora non ha più trapiantato un rene isolato e anche altri centri si stanno allineando”.