



UNIVERSITÀ
CATTOLICA
del Sacro Cuore

Scuola di Specializzazione in Allergologia e Immunologia Clinica

Direttore: Prof. Giovanni Gambassi

Tesi di Specializzazione Sperimentale

“Valutazione clinica multidimensionale di pazienti adulti e adolescenti affetti da esofagite eosinofila: studio prospettico multicentrico per lo sviluppo di un nuovo patient-reported outcome”

RELATORE

Prof.ssa E. Nucera

CANDIDATO

Dott.ssa Sara Urbani

CORRELATORI

Prof. A.G. Fiocchi

Prof.ssa P. De Angelis

Anno accademico 2021/2022

Valutazione clinica multidimensionale di pazienti adulti e adolescenti affetti da esofagite eosinofila: studio prospettico multicentrico per lo sviluppo di un nuovo patient-reported outcome

ABSTRACT

Introduzione

L'esofagite eosinofila (EoE) è una malattia cronica immuno-mediata, caratterizzata da infiammazione eosinofila della mucosa (≥ 15 eosinofili/HPF) e sintomi di disfunzione esofagea. L'EoE è associata a varie comorbidità allergologiche, nutrizionali e psicologiche che richiedono una valutazione da parte di più specialisti. Di conseguenza, lo sviluppo di un approccio multidisciplinare standardizzato, nella valutazione dei pazienti affetti, diventa di fondamentale importanza nella loro gestione clinico-terapeutica. Negli ultimi anni sono state sviluppati alcuni patient-reported outcome (PRO) per valutare e monitorare la gravità dei sintomi, ma non esiste, al momento, alcun questionario con una prospettiva multidimensionale. In tale contesto si inserisce l'EoE Disk, un innovativo patient-reported outcome, visuo-analogico, per la valutazione clinica e la gestione multidisciplinare del paziente adulto e adolescente affetto da EoE.

Obiettivi

Lo studio mira a validare l'EoE Disk, stabilendone l'accuratezza come indicatore dello stato di malattia (malattia attiva ≥ 15 eosinofili/HPF) e in correlazione con strumenti già validati (EEsAI-PRO / PEES v2.0). Inoltre, il lavoro si pone come obiettivi secondari di valutare la correlazione dello strumento con i criteri endoscopici (EREFS) e istopatologici (eosinofili/HPF), con le comorbidità atopiche (rinite, asma, dermatite atopica, allergia alimentare), con il peggioramento stagionale dei sintomi disfagici e con le comorbidità psicologiche (disturbi dell'alimentazione, stress psicosociale, ansia, depressione e disregolazione emotiva).

Materiali e Metodi

L'EoE Disk è stato valutato su pazienti adolescenti e adulti afferenti a 2 diversi centri. Sono stati arruolati pazienti (età ≥ 15 anni) affetti da EoE, che avevano effettuato un esame endoscopico nei 90 giorni

precedenti. Tutti i dati anamnestici, endoscopici e le risposte al questionario sono stati raccolti da Marzo 2022 a Settembre 2022. Per procedere alla validazione dello strumento, a tutti i pazienti progressivamente inclusi nello studio, sono stati autosomministrati simultaneamente l'EoE Disk e l'EESAI-PRO / PEES v2.0 (in relazione all'età).

Risultati

Sono stati inclusi nello studio 64 pazienti affetti da EoE, di cui 49 (76,6%) maschi e 15 (23,4%) femmine (rapporto M: F=3,3) con età mediana di anni 28,4 (IQR 17,1-43,6). Trentuno pazienti (48,4%) presentavano EoE in fase attiva (≥ 15 eosinofili/HPF) e 33 (51,6%) in fase di remissione (< 15 eosinofili/HPF); 9 pazienti (14%) avevano una diagnosi de-novo e 55 (86%) avevano una diagnosi pregressa. Il 78,1% dei pazienti erano atopici, il 23,4% dei pazienti aveva effettuato in precedenza un'immunoterapia specifica e il 48,4% dei pazienti riferivano un peggioramento della sintomatologia disfagica con andamento stagionale. Tale caratteristica è risultata essere significativamente associata alla concomitante presenza in anamnesi di rinite ($p < 0.0001$) e asma ($p = 0,003$) e associata a valori più elevati di ACT ($p = 0.02$). La sensibilizzazione a LTP (lipid transfer protein), aveva una prevalenza del 25% nei soggetti affetti da EoE, e si è mostrava significativamente associata al punteggio totale del dominio gastroenterologico ($p = 0,03$), del dominio psicologico ($p = 0,02$) e di quello nutrizionale ($p = 0,01$). L'EoE Disk si è rivelato uno strumento moderatamente accurato nel valutare l'attività di malattia ($AUC = 0,67$, sensibilità=77,4%, specificità=57,5% per valori di cut-off ≥ 27). I punteggi totali del disco avevano una forte correlazione con EESAI/PEES v2.0 ($\rho = 0,72$; $p < 0,0001$). Inoltre, più elevati punteggi totali del disco ($p = 0,029$) e punteggi più elevati del dominio gastroenterologico ($p = 0,003$) e psicologico ($p = 0,044$) si associavano a malattia attiva. Al contrario, i punteggi totali del dominio allergologico aumentavano al diminuire della probabilità di malattia attiva. Il dominio gastroenterologico correlava significativamente con l'eosinofilia alla biopsia ($\rho = 0,39$; $p < 0,01$), l'indice EREFS ($\rho = 0,39$; $p < 0,01$) e il risultato dell'EESAI/PEES v2.0 ($\rho = 0,76$; $p < 0,0001$).