

Valutazione a lungo termine della qualità di vita nei pazienti affetti da leucinosi dopo trapianto epatico

Massa P¹, Puma A¹, Cazzorla C¹, Gragnaniello V¹, Gueraldi D¹, Loro C¹, Commone A¹, Cananzi M², Cillo U³, Tummolo A⁴, Burlina A¹

¹UOC Malattie Metaboliche Ereditarie, Padova, Italy, ²Gastroenterologia pediatrica, Padova, Italy, ³Chirurgia epatobiliare, Padova, Italy, ⁴UOC Malattie Metaboliche Ereditarie, Bari, Italy

INTRODUZIONE

Ad oggi, la terapia dietetica del paziente affetto da Leucinosi, ha mostrato outcome clinici a lungo termine spesso non soddisfacenti, in quanto non previene la possibilità di scompenso metabolico e le relative conseguenze. Il trapianto epatico nella Leucinosi rappresenta un trattamento alternativo alla dieta. Le principali evidenze scientifiche dimostrano un buon controllo metabolico nel breve periodo post-operatorio. Tuttavia la stabilità metabolica a lungo termine e la qualità di vita (QdV) nei pazienti sottoposti a trapianto è stata raramente riportata in letteratura.

METODI/PAZIENTI

Da luglio 2012 a febbraio 2020 sono stati sottoposti a trapianto di fegato 12 pazienti con diagnosi di Leucinosi classica. Il follow-up clinico e biochimico prevedeva oltre al monitoraggio dei valori degli amminoacidi plasmatici, anche un follow-up psicologico mediante somministrazione del PedsQL (Pediatric Quality of Life Inventory) e del TAD (Test dell'Ansia e della Depressione). Il primo è uno strumento di auto-somministrazione per misurare la qualità di vita relativa alla salute nei bambini e negli adolescenti. Il secondo strumento rileva pensieri, emozioni e comportamenti legati alla sfera ansioso-depressiva nei bambini e negli adolescenti tra i 6 e i 19 anni. Per i bambini di età inferiore ai 5/6 anni è prevista la somministrazione del questionario al genitore

T0 pre trapianto epatico

- valutazione cognitiva (QI)
- PesdQL
- TAD
- follow-up clinico e biochimico

T1 dopo 12 mesi

- PesdQL
- TAD
- follow-up clinico e biochimico

T2 dopo 24 mesi

- PesdQL
- TAD
- follow-up clinico e biochimico

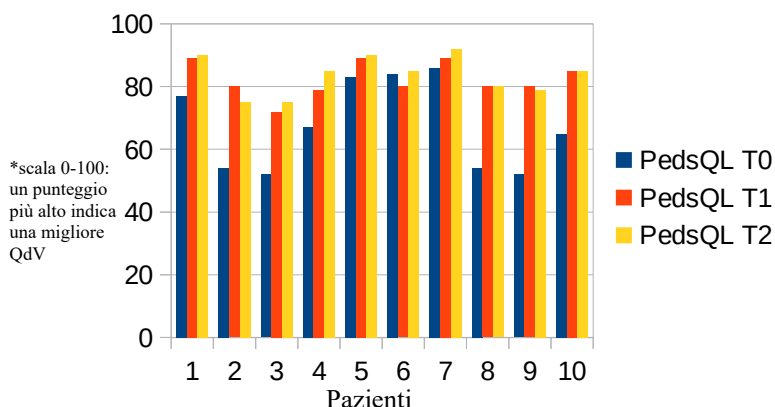
RISULTATI

2 pazienti su 12 sono deceduti per complicanze post-operatorie. Si riportano i dati relativi ai 10 pazienti sottoposti a follow-up clinico, biochimico e psicologico dopo 12 mesi (T1) e dopo 24 mesi (T2). Tutti sono a dieta libera. Nessun paziente è andato incontro a scompenso metabolico. Il confronto dei punteggi del PedsQL evidenzia un miglioramento della QdV a 12 mesi dal trapianto ($p=0.0125$) che non si modifica nel lungo termine. Al TAD, 3 pazienti su 10 riportano sintomi di ansia al T0 che persistono al T1 ma non si rilevano al T2.

Tab. 1 Descrizione del campione pre trapianto

Paziente	Sexo	Etnia	N. di scompensi pre trapianto	Età al trapianto (anni)	Livelli medi di leucina 1 anno prima del trapianto	QdV
1	M	caucasian	6	12	267 ± 198	81
2	F	caucasian	3	11	396 ± 96	44
3	M	caucasian	3	14	209 ± 174	75
4	F	caucasian	3	14	163 ± 94	95
5	M	caucasian	9	13	157 ± 183	99
6	F	caucasian	1	4	160 ± 118	106
7	F	caucasian	4	14	264 ± 153	80
8	M	caucasian	2	3	190 ± 102	80
9	M	caucasian	4	8	138 ± 120	85
10	F	caucasian	4	10	207 ± 80	90
11	M	afro-american	6	21	115 ± 247	96
12	M	indian	3	1	175 ± 115	70

Qualità di vita: PedsQL* T0 – T1 – T2



DISCUSSIONE/CONCLUSIONI

I dati biochimici dimostrano il raggiungimento della stabilità metabolica già a 12 mesi dal trapianto e un miglioramento della QdV che rimane stabile nel lungo termine. Tuttavia si sottolinea l'importanza di approfondire aspetti legati alla QdV e alla sfera emotiva di questi pazienti mediante l'utilizzo di strumenti specifici e di continuare a monitorarli nel tempo.