

Tavola rotonda - Nuovi approcci diagnostici per le malattie rare in Toscana: la ricerca e il PNRR

Registro dei pazienti con pemfigoide bolloso (BPReg): un nuovo modello per armonizzare la raccolta e lo scambio di dati, promuovere la ricerca clinica e migliorare la gestione di una malattia cutanea rara degli anziani

Marzia Caproni

SOS Malattie Rare Dermatologiche, Dermatologia I, Azienda USL Toscana Centro, Dipartimento di Scienze della Salute, Università di Firenze

Abstract

Il pemfigoide bolloso (BP) è una malattia cronica rara, a patogenesi autoimmune, caratterizzata dalla formazione di lesioni cutanee bollose, tipica degli anziani, con impatto rilevante sulla qualità della vita (QoL) ed associata ad un aumento della mortalità. La malattia richiede una terapia immunosoppressiva a lungo termine con potenziali effetti collaterali. La rarità del BP rende difficile la raccolta di dati epidemiologici. Pertanto, l'obiettivo principale del progetto è rappresentato dallo sviluppo di un registro multicentrico denominato *Pemphigoid Patient-Registry* (BPReg), volto ad ottimizzare la ricerca clinica e la gestione dei pazienti con BP. Tre Unità Operative cliniche (UO) sono coinvolte. Il progetto è finalizzato allo sviluppo del primo registro italiano dei pazienti con BP e uno dei primi registri al mondo in questo ambito. Il registro includerà vari tipi di informazioni standardizzate (es. dati demografici, anamnesi, diagnosi, terapie, dati antropometrici). Il BPReg raccoglierà dati longitudinali relativi all'attività di follow-up clinico, comprese immagini ad alta definizione delle lesioni cutanee e di reperti immunopatologici (es. immunofluorescenza, istopatologia). I dati sulla QoL dei pazienti saranno raccolti attraverso indagini cliniche che saranno integrate come moduli specifici all'interno del BPReg. Il registro sarà sviluppato come applicazione web utilizzando diversi linguaggi di programmazione aperti, attraverso l'architettura modulare, per consentire l'inclusione o l'esclusione di dati quando necessario. La raccolta dei dati sarà effettuata attraverso la definizione di Data Elements (DEs) al fine di facilitare la standardizzazione delle informazioni raccolte e l'armonizzazione della gestione dei pazienti con BP, in termini di procedure e trattamenti. L'arruolamento dei pazienti nel biennio dello studio sarà sia prospettico che retrospettivo. Saranno eseguite analisi al fine di: calcolare e valutare gli indici di malattia, stimarne l'incidenza, classificare e caratterizzare clinicamente i pazienti, valutare i fattori prognostici e la risposta terapeutica in base ai diversi regimi di trattamento impostati, testare specifiche ipotesi di associazione basate sulla letteratura scientifica e sull'esperienza clinica, valutare la QoL dei pazienti. Il BPReg permetterà di valutare la sicurezza a lungo termine ed il beneficio di diversi trattamenti, portando a migliori strategie di gestione, riducendo così i costi per il sistema sanitario.