www.printo.it/pediatric-rheumatology/IT/intro

Vasculite Sistemica Primaria Giovanile Rara

Versione 2016

2. DIAGNOSI E TERAPIA

2.1 Quali sono i tipi di vasculite? In che modo è classificata la vasculite?

La classificazione della vasculite nei bambini si basa sulle dimensioni dei vasi sanguigni interessati. La vasculite dei grandi vasi, come l'artrite di Takayasu, colpisce l'aorta e le sue principali diramazioni. La vasculite dei vasi medi solitamente colpisce le arterie che alimentano reni, intestino, cervello o cuore (es. poliartrite nodosa, malattia di Kawasaki). La malattia dei piccoli vasi interessa i piccoli vasi sanguigni compresi i capillari (es. porpora di Henoch-Schönlein, granulomatosi con poliangite, sindrome di Churg-Strauss, vasculite leucocitoclastica cutanea, poliangite microscopica).

2.2 Quali sono i sintomi principali?

I sintomi della malattia variano in base al numero complessivo di vasi sanguigni infiammati (diffusa o solo in pochi siti) e alla loro posizione (organi vitali come il cervello o il cuore rispetto a pelle o muscoli) ed in base al livello di coinvolgimento del flusso del sangue che può andare da una lieve diminuzione transitoria del flusso sanguigno alla completa occlusione con successive alterazioni del tessuto non alimentato causate dalla mancanza di ossigeno e apporto di sostanze nutritive. Ciò può portare infine a danni al tessuto con cicatrici. La misura dei danni al tessuto indica il livello di disfunzione dei tessuti o dell'organo. I sintomi tipici sono descritti nelle seguenti sezioni relative alle singole malattie.

2.3 Come viene diagnosticata?

La diagnosi di vasculite di solito non è facile. I sintomi assomigliano ad altre malattie pediatriche più comuni. La diagnosi si basa su una valutazione esperta dei sintomi clinici, insieme ai risultati degli esami del sangue e delle urine e alla valutazione degli esami radiologici (es. ultrasonografia, raggi X, TC e scansioni RM, angiografia). Laddove appropriato, la diagnosi può essere confermata dalle biopsie prelevate dai tessuti e dagli organi interessati più accessibili. Poiché si tratta di patologie rare, spesso è necessario consultare un centro con reumatologia pediatrica e con altre specializzazioni pediatriche e esperti di immagini radiologiche.

2.4 Può essere trattata?

Sì, oggi la vasculite può essere trattata, sebbene alcuni casi più complicati siano piuttosto difficili. Nella maggior parte dei pazienti trattati adeguatamente, si può raggiungere il controllo della malattia (remissione).

2.5 Quali sono i trattamenti?

Il trattamento delle vasculiti croniche primitive può essere prolungato e complesso. Il suo principale obiettivo è tenere la malattia sotto controllo quanto prima (terapia di induzione) e mantenere il controllo a lungo termine (terapia di mantenimento) evitando gli effetti collaterali dei farmaci non strettamente necessari. I trattamenti vengono scelti su base strettamente individuale in base all'età del paziente e alla gravità della malattia.

In combinazione con i farmaci immunosoppressori, come ad esempio la ciclofosfamide, è stato dimostrato che i corticosteroidi sono più efficaci nell'indurre la remissione della malattia.

I farmaci usati regolarmente nella terapia di mantenimento includono: azatioprina, metotrexato, micofenolato mofetile e prednisone a basso dosaggio. Possono essere utilizzati diversi altri farmaci per inibire il sistema immunitario attivato e combattere l'infiammazione, che vengono scelti su base strettamente individuale, di solito quando altri farmaci comuni non hanno avuto esito positivo. Includono gli agenti biologici più recenti (es. inibitori del TNF e rituximab), colchicina e talidomide.

Nella terapia corticosteroidea a lungo termine, l’osteoporosi deve essere prevenuta tramite l’assunzione di quantità sufficienti di calcio e vitamina D. Possono essere prescritti farmaci che influenzano la coagulazione del sangue (es. aspirina a basso dosaggio o anticoagulanti) e, in caso di aumento della pressione del sangue, vengono usati agenti per la riduzione della pressione sanguigna. Potrebbe essere necessario fare fisioterapia per migliorare la funzionalità muscolo-scheletrica, mentre il sostegno sociale e psicologico per il paziente e la sua famiglia aiutano ad affrontare lo stress e le tensioni legate a una malattia cronica.

2.6 Quali sono le terapie complementari/non convenzionali?

Esistono molte terapie complementari e alternative e ciò potrebbe confondere i pazienti e le loro famiglie. Pensate bene ai rischi e ai benefici derivanti da queste terapie poiché esistono pochi vantaggi comprovati e possono essere costose sia in termini di tempo e denaro, sia di rischio per il bambino. Se intendete considerare terapie complementari e alternative, è buona cosa parlare di tali opzioni con il vostro reumatologo pediatrico. Alcune terapie possono interagire con i farmaci convenzionali. La maggior parte dei medici non sarà contraria alle terapie complementari, a condizione che seguiate i loro consigli. È molto importante non interrompere l’assunzione dei farmaci prescritti. Quando farmaci come i corticosteroidi sono necessari per mantenere la malattia sotto controllo, può essere molto pericoloso interromperne l’assunzione se la malattia è ancora attiva. Parlate dei vostri dubbi con il medico del bambino.

2.7 Check-up

Lo scopo principale di regolari follow-up è valutare l’attività della malattia, nonché l’efficacia e i possibili effetti collaterali del trattamento, per ottenere il massimo vantaggio per vostro figlio. La frequenza e il tipo delle visite di follow-up dipendono dal tipo e dalla gravità della malattia, così come dai farmaci usati. Nella prima fase della malattia le visite ambulatoriali sono ordinarie e, in casi più complicati, può essere frequente il ricovero. Queste visite di solito diventano meno frequenti non appena si raggiunge il controllo della malattia.

Esistono diversi modi per valutare l’attività della malattia nella vasculite. Vi sarà chiesto di segnalare qualsiasi cambiamento nelle condizioni di vostro figlio e in alcuni casi di effettuare esami delle sue urine con strisce reattive o misurazioni della pressione arteriosa. Un esame clinico dettagliato insieme e la valutazione dei sintomi lamentati da vostro figlio sono una parte importante della valutazione dell’attività della malattia. Vengono svolti esami del sangue e delle urine per conoscere l’attività dell’infiammazione, le modifiche nelle funzionalità degli organi e i potenziali effetti collaterali dei farmaci. In base al coinvolgimento individuale degli organi interni, possono essere svolte diverse altre indagini da vari specialisti e potrebbero essere necessari degli esami radiologici.

2.8 Quanto dura la malattia?

Le vasculiti primitive rare sono malattie a lungo termine che a volte durano per tutta la vita. Possono iniziare come condizioni acute, spesso gravi o potenzialmente mortali e successivamente diventare malattie croniche.

2.9 Qual è l’evoluzione a lungo termine (prognosi) della malattia?

La prognosi delle vasculiti primitive rare è fortemente individuale. Dipende non solo dal tipo e dall’entità dell’interessamento dei vasi sanguigni e dagli organi coinvolti, ma anche dall’intervallo tra l’insorgenza della malattia e l’inizio del trattamento, così come dalla risposta individuale alla terapia. Il rischio di danni agli organi è legato alla durata della malattia attiva. I danni agli organi vitali possono avere conseguenze per tutta la vita. Con un trattamento adeguato, la remissione clinica si raggiunge spesso nel corso del primo anno. La remissione può durare per tutta la vita ma spesso è necessaria una terapia di mantenimento a lungo termine. I periodi di remissione della malattia possono essere interrotti da ricadute che richiedono una terapia più intensiva. La malattia non trattata presenta un rischio di morte relativamente alto. Poiché questa malattia è rara, non esistono esatti dati certi sulla sua evoluzione a lungo termine e sulla mortalità.