

## **TRATTAMENTO DELLA SCLERODERMIA CON FATTORE XIII DELLA COAGULAZIONE**

*Marzano AV.<sup>1</sup>, Spinelli D.<sup>1</sup>, Crosti C.<sup>1</sup>, Berti E.<sup>2</sup>*

<sup>1</sup>Istituto di Scienze Dermatologiche, Università di Milano - Fondazione IRCCS Ospedale Maggiore Policlinico, Mangiagalli e Regina Elena.

<sup>2</sup>Università di Milano “Bicocca”

Il fattore XIII è responsabile della stabilizzazione del coagulo di fibrina nel processo coagulativo. Thivolet et al. segnarono per la prima volta nel 1975 l'utilizzo di questo fattore della coagulazione nel trattamento della sclerosi sistemica (SSc), ipotizzandone la capacità di favorire la degradazione del collagene che si accumula nella cute e negli altri organi colpiti. Sulla base di queste prime evidenze cliniche e degli studi in vitro pubblicati da Paye et al. nel 1990, abbiamo somministrato fattore XIII a 18 pazienti, di cui 11 affetti da SSc, 5 da sclerodermia generalizzata e 2 da sclerodermia localizzata, nel periodo compreso tra il 1991 e il 2000. Tutti questi casi erano caratterizzati da diffusa sclerosi cutanea di grado severo. La durata media della terapia era di 35,5 mesi. La tolleranza del farmaco sia a breve che a lungo termine risultava eccellente. Dopo circa 10 mesi di trattamento la sclerosi cutanea, valutata con metodo semiquantitativo, appariva marcatamente ridotta nel 75% dei casi, con successiva stabilizzazione dei sintomi e segni clinici di malattia. L'efficacia del fattore XIII sulle localizzazioni viscerali della SSc restava incerta, anche se la sua somministrazione in associazione ad immunosoppressori convenzionali, quali corticosteroidi sistemici e D-penicillamina, sembrava migliorare la funzionalità respiratoria in diversi pazienti. Tale supposta efficacia è stata parzialmente supportata da successivi studi da noi condotti che hanno documentato un possibile ruolo del farmaco sul danno endoteliale, considerato il *primum movens* nella patogenesi della SSc. Il fattore XIII veniva pertanto proposto quale trattamento d'elezione nella sclerodermia generalizzata e come farmaco da associare alle terapie tradizionali nella SSc. Presentiamo lo stato dell'arte su questo farmaco sulla base di una revisione critica dei dati del nostro istituto e di quelli della letteratura.