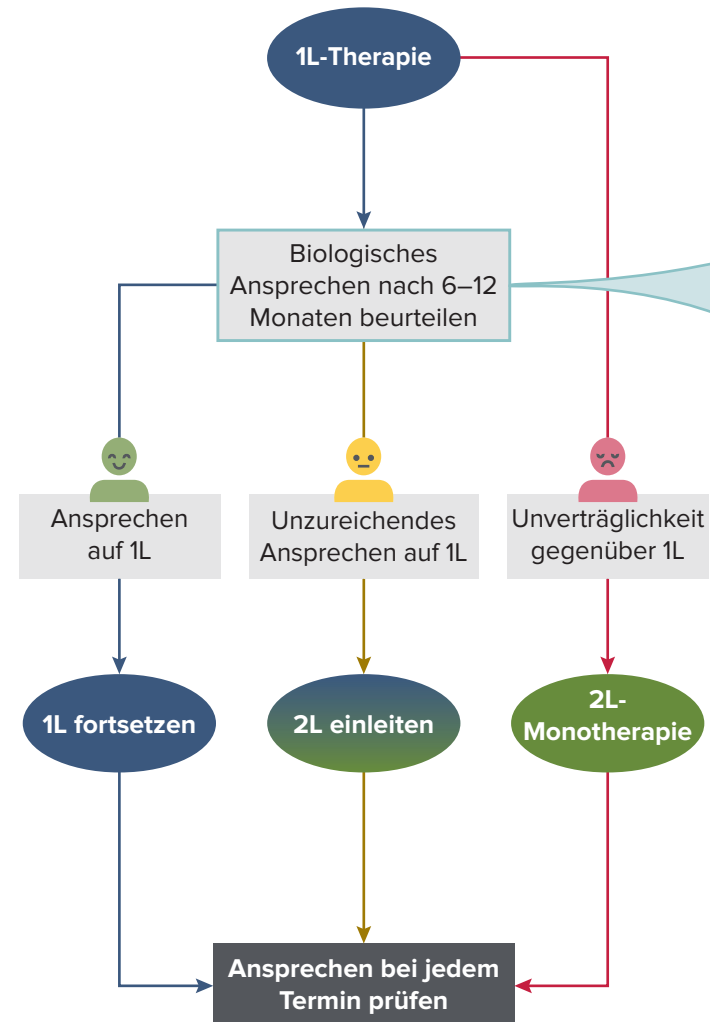


Die PBC-Behandlung zielt darauf ab, die Krankheitsprogression zu verhindern und die Symptome zu lindern:^{1, 2, 25}

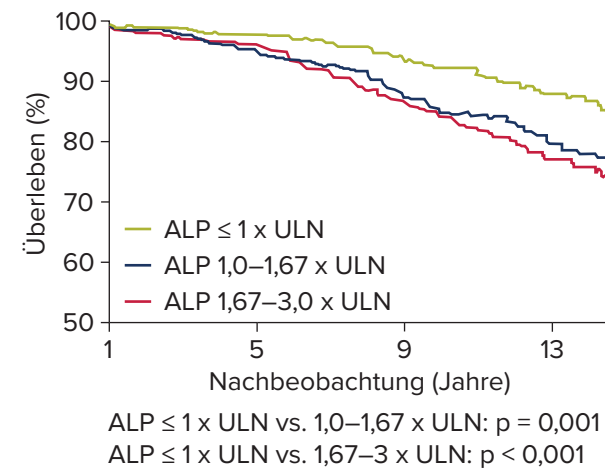


Die Leitlinien empfehlen eine Beurteilung des Behandlungsansprechens anhand der wichtigsten **biochemischen Lebermarker, ALP und Gesamtbilirubin**, nach **6–12 Monaten** Erstlinientherapie (1L)^{1, 2, 25}

Viele Patient:innen sprechen auf die derzeitige **1L-Behandlungsoption** nur **unzureichend an**, und die Behandlungsziele verschieben sich in Richtung einer **ALP-Normalisierung**^{2, 6, 26}

Die ALP-Normalisierung war mit besseren Behandlungsergebnissen assoziiert

GLOBAL PBC Study Group (N = 3.509):⁶



Eine **ALP-Normalisierung (≤ 1 x ULN)** war mit einer **10-Jahres-Überlebensrate von 93 % verbunden**, verglichen mit 86 % bei ALP > 1 bis ≤ 1,67 x ULN und 85 % bei ALP > 1,67 x ULN

Abkürzungen

1L = Erstlinientherapie; 2L = Zweitlinientherapie; ALP = alkalische Phosphatase; AMA = antimitochondriale Antikörper; PBC = primär biliäre Cholangitis; QoL = Lebensqualität; ULN = obere Normgrenze.

Referenzen

- European Association for the Study of the Liver. J Hepatol. 2017;67(1):145-72.
- Lindor KD, et al. Hepatology. 2019;69(1):394-419.
- Onofrio FQ, et al. Hepatol Gastroenterol. 2019;15(3):145-54.
- Schnabl B. N Engl J Med. 2024;390(9):855-8.
- Trivella J, et al. Hepatol Commun. 2023;7(6):e0179.
- Murillo Perez CF, et al. Am J Gastroenterol. 2020;115(7):1066-74.
- Lammers WJ, et al. Gastroenterology. 2014;147(6):1338-49.e5.
- Leung KK, et al. Aliment Pharmacol Ther. 2020;52(7):1150-1164.
- Lu M, et al. Clin Gastroenterol Hepatol. 2018;16(8):1342-50.e1.
- Murillo Perez CF, et al. Aliment Pharmacol Ther. 2019;50(10):1127-1136.
- Hohenester S, et al. Semin Immunopathol. 2009;31(3):283-307.
- Gershwin EM. Pathogenesis of primary biliary cholangitis (primary biliary cirrhosis). UpToDate. 5. August 2021. Zugriff am 3. April 2025. <https://www.uptodate.com/contents/pathogenesis-of-primary-biliary-cholangitis-primary-biliary-cirrhosis>.
- Overi D, et al. JHEP Rep. 2022;4(11):100556.
- Sasaki M, Nakanuma Y. Hepat Res Treat. 2010;2010:205128.
- Kumagi T, Heathcote EJ. Orphanet J Rare Dis. 2008;3:1.
- Hirschfield GM. Gastroenterol Hepatol (NY). 2021;17(5 Suppl 5):2-5.
- University of California San Francisco. End-stage Liver Disease (ESLD). Aktualisiert am 16. Mai 2023. Zugriff am 24. April 2024. <https://www.uptodate.com/contents/palliative-care-for-patients-with-end-stage-liver-disease>.
- Cheung AC. Primary biliary cholangitis. National Organization for Rare Disorders. 6. April 2020. Zugriff am 3. April 2025. <https://rarediseases.org/rare-diseases/primary-biliary-cholangitis/4>.
- Purohit T, Cappell MS. World J Hepatol. 2015;7(7):926.
- Mayo MJ, et al. Dig Dis Sci. 2023;68(3):995-1005.
- Rishe E, et al. Acta Derm Venereol. 2008;88(1):34-7.
- Chalifoux SL, et al. Gut Liver. 2017;11(6):771-80.
- Wah-Suarez MI, et al. Frontline Gastroenterol. 2019;10(4):401-8.
- Younossi ZM, et al. Am J Gastroenterol. 2019;114(1):48-63.
- You H, et al. Hepatol Int. 2022;16(1):1-23.
- Corpechot C, et al. Hepatology. 2024;79(1):39-48.

Primär biliäre Cholangitis (PBC): Umgang mit einer komplexen progressiven Lebererkrankung

PBC ist eine chronische, autoimmune, cholestatische Lebererkrankung, die mit einer fortschreitenden Leberschädigung und einer erheblichen Symptombelastung assoziiert ist^{1, 2}

- Weltweit ist etwa **1 von 1.000 Frauen über 40 Jahren** von PBC betroffen¹

Bei der PBC führt eine **Immun-dysregulation zur Zerstörung von Cholangiozyten in kleinen und mittleren Gallengängen**¹⁻⁴

- Entzündete und geschädigte Gallengänge führen letztlich zu einer Cholestase, die ein **Hauptauslöser für Leberfibrose und die Entstehung einer Leberzirrhose** ist¹⁻⁴

Bis zu **80 %** der PBC-Patient:innen leiden unter beeinträchtigenden Symptomen wie **Pruritus** und **Ermüdung (Fatigue)**, die die **Lebensqualität (QoL)** erheblich beeinträchtigen können^{3, 5}

Unbehandelt oder unzureichend kontrolliert kann PBC zu einer **Lebererkrankung im Endstadium** führen¹⁻³

- Bis zu **50 % der unbehandelten Patient:innen entwickeln nach 4 Jahren eine Leberzirrhose**⁵

Die **Normalisierung der alkalischen Phosphatase (ALP)** und ein **niedriger Bilirubinspiegel** sind wichtige Marker für das Therapieansprechen^{6, 7}

Pathogenese

PBC ist durch eine **immunvermittelte Degeneration kleiner und mittlerer Gallengänge** gekennzeichnet, die zu einer Beeinträchtigung des Gallenflusses (**Cholestase**) und einer Anreicherung toxischer Gallensäuren führt und dadurch **Schädigung, Entzündung und Fibrose der Leberzellen** zur Folge hat.¹⁻⁴

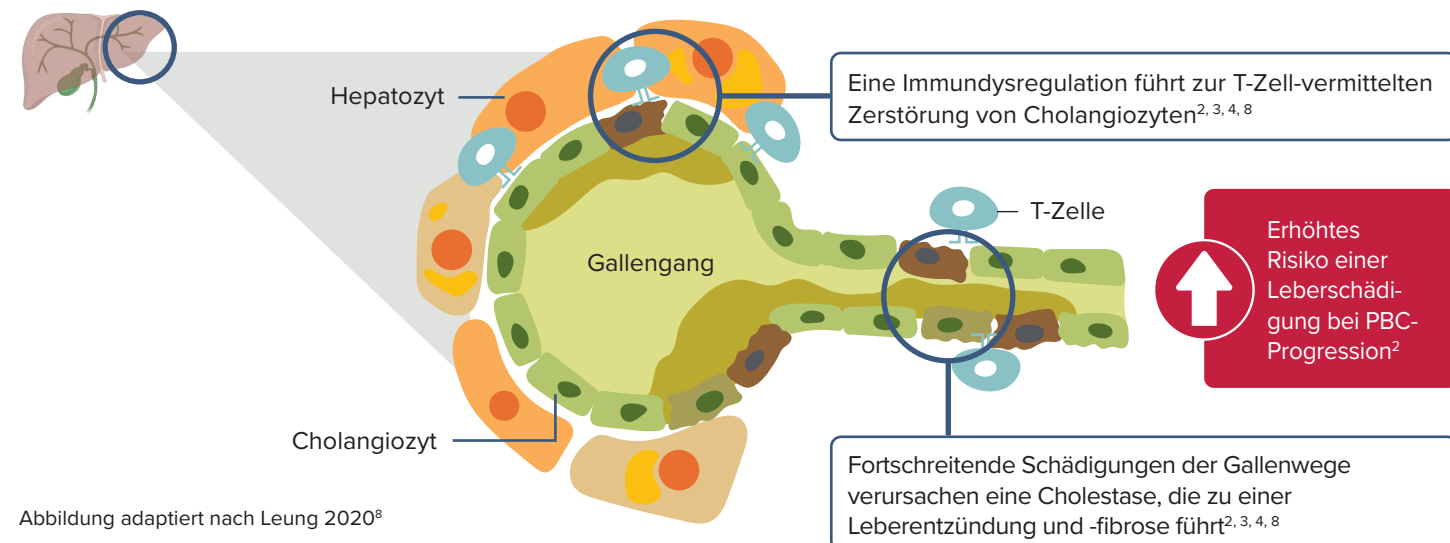
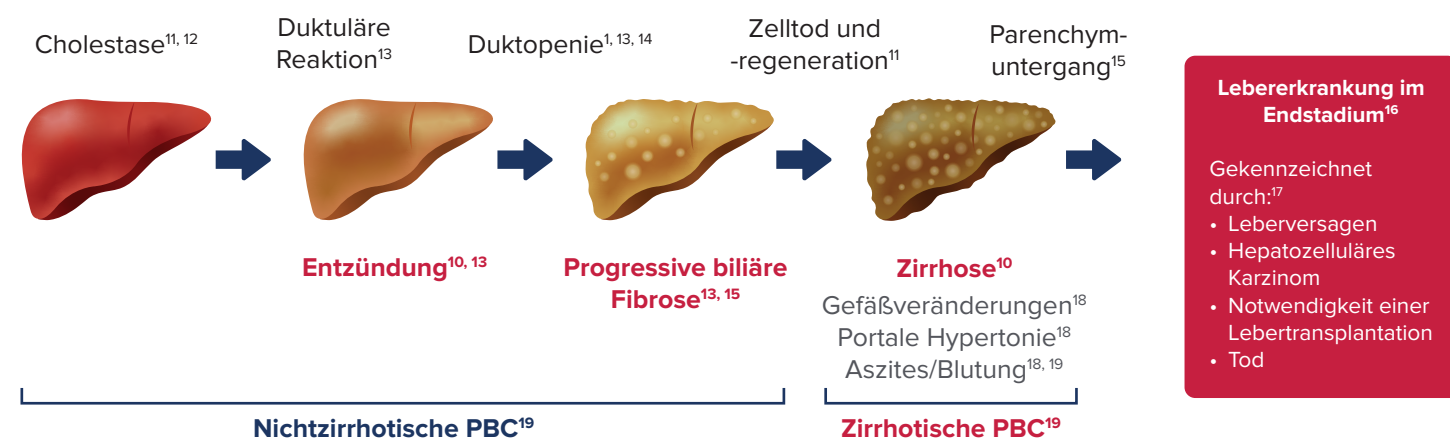


Abbildung adaptiert nach Leung 2020⁸

Krankheitsprogression

PBC ist eine **chronische, fortschreitende Erkrankung**, bei der bis zu **50 % der unbehandelten Patient:innen nach 4 Jahren eine Leberzirrhose entwickeln**^{1, 5}



! Eine **frühzeitige Behandlung** kann dazu beitragen, das Fortschreiten der PBC zu verzögern oder zu verhindern^{1, 9}

Patientenprofil

- PBC betrifft Frauen unverhältnismäßig stark, aber die **PBC-Prävalenz bei Männern ist größer als bisher angenommen**⁵
 - Frühere Berichte gehen von einem medianen Verhältnis von Frauen zu Männern von 10:1 aus; neuere Literatur zeigt jedoch, dass PBC bei Männern häufiger auftritt, mit einem Verhältnis von:
- Obwohl PBC alle ethnischen Zugehörigkeiten betrifft, stammen die Daten überwiegend aus kaukasischen Gruppen, was Ungleichheiten in der Gesundheitsversorgung und Lücken in der Krankheitserkennung offenbart⁵
- PBC wird in der Regel bei Patient:innen im Alter von **40 bis 60 Jahren** diagnostiziert; die meisten Menschen mit PBC sind zwischen 60 und 79 Jahre alt⁵

weiblich:männlich
von 4–6:1⁵

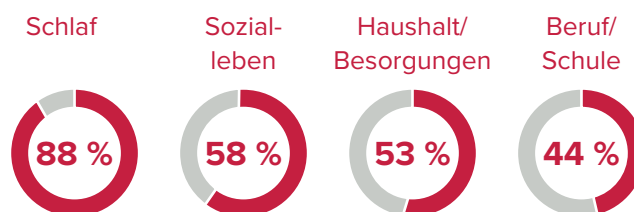


Symptome

Symptome können **in jedem Stadium der Erkrankung** auftreten⁵

Bis zu **80 %** der Betroffenen leiden unter beeinträchtigenden Symptomen wie **Pruritus** und **Ermüdung (Fatigue)**, die die **Lebensqualität erheblich beeinträchtigen** können^{3, 5}

Pruritus führt zu erheblichen Einschränkungen in verschiedenen Bereichen des täglichen Lebens:²⁰



Pruritus ist ein **unzureichend gemeldetes und unterbehandeltes** Symptom der PBC:

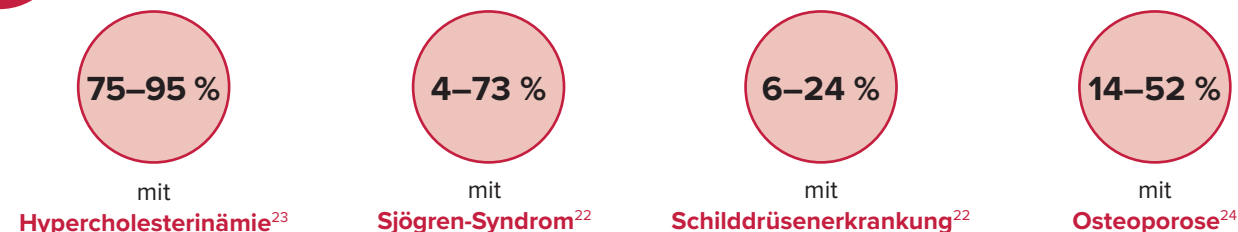
70 % werden von ihren Ärzten nicht auf Pruritus untersucht²¹

~1/3 derjenigen, die Pruritus meldeten, erhielten nie eine Behandlung dagegen²⁰

! Es ist wichtig, alle PBC-Patient:innen **proaktiv auf Pruritus zu untersuchen**. Die wirksame Behandlung von Pruritus ist ein wesentlicher Bestandteil einer **umfassenden PBC-Versorgung**¹

Extrahepatische Manifestationen

Extrahepatische Manifestationen treten bei etwa **73 %** der PBC-Patient:innen auf:²²



Diagnose

Für die Diagnose der PBC müssen **2 von 3 Kriterien** erfüllt sein:²

- ✓ Biochemischer Nachweis einer Cholestase basierend auf einer **ALP-Erhöhung**
- ✓ Vorhandensein von **antimitochondrialen Antikörpern (AMA)** oder anderen **PBC-spezifischen Autoantikörpern**, einschließlich sp100 oder gp210, sofern AMA negativ ist
- ✓ **Histologischer Nachweis** einer nicht purulente destruktive Cholangitis und Zerstörung der interlobulären Gallengänge