„Ideal wäre ein Therapiebeginn noch vor Destruktion der Leber“

PBC nicht übersehen

Die Primär Biliäre Cholangitis (PBC) sollte frühestmöglich erkannt und behandelt werden. Bei knapp 40 Prozent der Betroffenen schlägt die Behandlung mit der Standardtherapie fehl. Eine wirksame Alternative steht bislang (noch) nicht zur Verfügung.

— PBC ist eine seltene, autoimmun vermittelte, cholestatische Lebererkrankung mit vielfältigem Krankheitsverlauf und einem erhöhten Risiko für Leberfibrose und Leberzirrhose. Die Prävalenz wird mit 13,5 pro 100.000 Einwohnern angenommen. In Deutschland sind nach Informationen der Deutschen Leberhilfe zwischen 4000 und 12.000 Menschen betroffen, davon 90 Prozent Frauen mit einem Altersgipfel zwischen 40 und 60 Jahren. Der Verlauf ist variabel. Bei einem Teil der Patienten mündet die PBC letztlich in die gemeinsame Endstrecke aller chronischer Lebererkrankungen – Fibrosierung und Leberzirrhose – bis hin zu einem hepatozellulären Karzinom und der Notwendigkeit einer Lebertransplantation. In Europa gehen immerhin etwa sechs Prozent der Lebertransplantationen auf eine PBC zurück.

Früh erkennen – früh behandeln

Ziel der Therapie muss es deshalb sein, den Krankheitsverlauf frühzeitig günstig zu beeinflussen, um Spätkomplikationen, Lebertransplantation und Tod möglichst zu verhindern. „Ideal wäre ein Therapiebeginn noch vor Destruktion der Leber“, betonte Prof. Dr. Heinz Hartmann, Gastroenterologe und Hepatologe aus Herne in Nordrhein-West-

falen bei einem Fachworkshop Ende April in München. Das Problem: Die PBC wird oft erst spät erkannt, auch weil die Beschwerden eher unspezifisch sind. Die Mehrzahl der Patienten klagt über Fatigue, 20 bis 70 Prozent über Pruritus. Diagnostisch wegweisend kann eine positive Familienanamnese oder eine assoziierte Autoimmunerkrankung sein.

Standardtherapie versagt bei knapp 40 Prozent

Die Standardtherapie, Ursodesoxycholsäure (UDCA) in einer Dosierung von 13 bis 15 mg/kg/d, ist derzeit die einzige zugelassene Therapieoption. Doch knapp 40 Prozent sprechen nicht adäquat auf die Therapie an. Ein echter „unmet need“ in der Hepatologie. Um die therapeutische Lücke zu schließen, wird seit einigen Jahren intensiv geforscht. Im Fokus stehen Gallensäurederivate wie der FXR-Agonist Obeticholsäure.

Alkalische Phosphatase und Bilirubin als harte Leitparameter

Die globale PBC Studiengruppe mit mehr als 6000 Patienten zu Studienbeginn konnte eine Korrelation zwischen der Erhöhung von Alkalischer Phosphatase bzw. Bilirubin und der

Mortalität der PBC zeigen (1, 2). Dies gilt sowohl für die mit UDCA behandelten Patienten als auch für die nicht-therapierten. Damit scheinen AP und Bilirubin als Leitkriterien für die Therapie der PBC angesehen werden zu können. Jede Absenkung dieser Parameter kann das Risiko für harte Endpunkte vermindern (2). Patienten, die die Responsekriterien – AP < 1,67 x oberer Normwert, AP Reduktion ≥ 15 Prozent und Bilirubin im Normbereich – nicht erreichten, hatten beispielsweise ein dreifach erhöhtes Risiko für Lebertransplantation und Tod (3).

Beate Fessler

Literatur

1. Lindor KD (2009) Primary biliary cirrhosis. *Hepatology* 50(1):291–308
2. Lammers WJ et al (2014) *Gastroenterology* 147(6):1338–1349
3. Hansen B et al (2014) Abstract 15 EASL: PBC Monothematic Conference, Milan

Wien klin Mag 2016 · 19:95
DOI 10.1007/s00740-016-0112-7
Online publiziert: 30. Mai 2016
© Springer-Verlag Wien 2016

Quelle: „MED: Media Education Dialogue zur Primär Biliären Cholangitis (PBC)“, München, 21. April 2016 (Veranstalter: Intercept Pharma Deutschland GmbH, München); Presseinformation Intercept