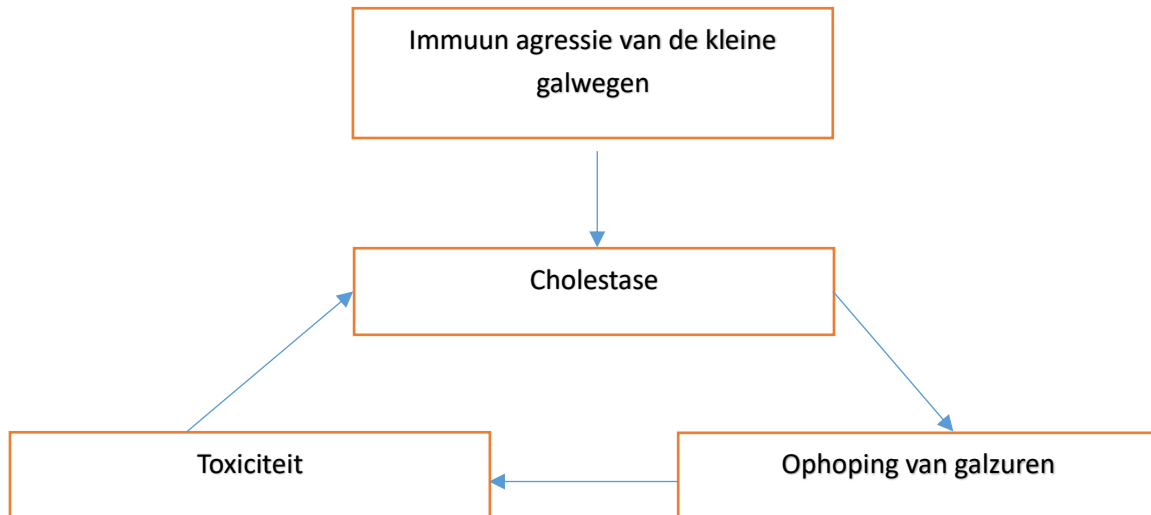


# Primaire Biliaire Cholangitis (PBC)

## Wat is PBC?

Primaire biliare cholangitis (PBC), voorheen primaire biliare cirrose genoemd, is een ontstekingsziekte, waarbij het eigen immuunsysteem de kleine galwegen in de lever aantast. Het immuunsysteem produceert antilichamen om uw lichaam te verdedigen tegen externe agressors (virussen, bacteriën). Bij een auto-immuunziekte valt je immuunsysteem onderdelen van je eigen lichaam aan. In geval van PBC worden de antistoffen naar de dunne galkanalen gestuurd waar ze cholestase veroorzaken.



Bij cholestase is de lever niet meer in staat om gal behoorlijk naar de darm af te leiden. Dit is het belangrijkste gevolg van de galwegschade veroorzaakt door auto-immuniteit bij PBC. De opstapeling van gal in de lever is giftig en resulteert in aanhoudende ontsteking en ontwikkeling van fibrose (littekenweefsel), dat dan weer de cholestase verergert, een vicieuze cirkel (zie figuur).

Verlittekening (fibrose) kan worden aangetoond door een leverbiopt of door een elastografie (Fibroscan). Na verloop van tijd kan de verlittekening (fibrose) uiteindelijk leiden tot cirrose (harde lever). Het is mogelijk om met cirrose te leven, maar hiervoor is een strikte en correcte opvolging noodzakelijk. Soms kan cirrose leiden tot complicaties zoals vocht in de buik (ascites), hepatische encefalopathie (verwardheid), spataderen in de slokdarm (varices) en primaire leverkanker.

Eén van de doelstellingen bij het behandelen van PBC is het vermijden van de toename van cholestase, waardoor de vicieuze cirkel die progressieve leverbeschadiging veroorzaakt, wordt doorbroken.

Een vroege diagnose is essentieel voor de behandeling die de progressie van de ziekte voorkomt of vertraagt. Patiënten die vroeg worden gediagnosticeerd en goed op de behandeling reageren, hebben wel een levensverwachting die vergelijkbaar is met die van mensen zonder de ziekte. Gelukkig is dit het geval bij een grote meerderheid van de patiënten.

## Wie wordt getroffen?

90 procent van de PBC-patiënten zijn vrouwen en de meeste patiënten worden gediagnosticeerd tussen de 35 en 55 jaar. De prevalentie van de ziekte (aantal gevallen in een bepaalde populatie) voor

vrouwen boven de 40 wordt geschat op ongeveer 1/1000. PBC moet dus worden beschouwd als een zeldzame ziekte.

## Waarom heb ik PBC?

De oorzaak van deze leverziekte is onbekend. Genetische aanleg in combinatie met omgevingsfactoren zijn mogelijk verantwoordelijk voor de auto-immuun dysfunctie die de ontwikkeling van PBC uitlokt.

## Wat zijn mogelijke symptomen?

Veel patiënten hebben geen symptomen op het moment van de diagnose. Vermoeidheid en jeuk worden vaak gemeld tijdens het verloop van de ziekte. Bijkomende symptomen kunnen concentratieproblemen, gewrichtspijn en pijn rechtsboven in de buik zijn. Droge ogen of mond worden ook gemeld en kunnen soms in verband worden gebracht met andere auto-immuunziekten of syndromen die PBC vergezellen.

Omdat de symptomen vaak subtiel zijn en niet noodzakelijkerwijs voorkomen, leiden ze zelden tot de diagnose PBC. Deze symptomen, waaronder voornamelijk vermoeidheid, zijn over het algemeen onafhankelijk van de ernst van de ziekte.

In sommige gevallen kunnen patiënten lijden aan andere auto-immuunziekten en/of syndromen, waaronder het syndroom van Sjögren of Hashimoto-thyroiditis (schildklierandoening). Deze aandoeningen vragen om aparte aandacht van verschillende experts, waardoor afstemming tussen medisch specialisten noodzakelijk is.

## Hoe wordt PBC gediagnosticeerd?

Tegenwoordig wordt PBC meestal gedetecteerd na routinematig bloedonderzoek. Abnormale levertesten, die op cholestase kunnen wijzen, motiveren artsen om de oorzaak van de leverafwijking verder te onderzoeken.

PBC wordt meestal gemakkelijk gediagnosticeerd op basis van de combinatie van chronische cholestase (dus stijging van levertesten) en in het bloed detecteerbare anti-mitochondriale antilichamen (AMA) die specifiek zijn voor PBC. Bij meer dan 90 procent van de patiënten worden AMA's gedetecteerd.

De belangrijkste afwijkende bloedtesten bij PBC zijn verhoogde concentratie van alkalische fosfatase (AF) en/of gamma-GT, geassocieerd met ontsteking van de galwegen, en verhoogde immunoglobuline M (IgM). Alanine-aminotransferase (ALAT) en aspartaataminotransferase (ASAT) zijn ook vaak boven de bovengrens, zonder noodzakelijkerwijs te betekenen dat naast de PBC er ook auto-immunhepatitis (AIH) aanwezig is.

Enkel in bepaalde situaties wordt een leverbiopsie overwogen. Leverbiopsie maakt geen deel uit van de standaard diagnostiek om PBC vast te stellen, maar kan nuttig zijn als PBC wordt vermoed maar de auto-antilichamen niet detecteerbaar zijn. Bovendien kan een leverbiopsie nodig zijn om de mate van leverschade beter in te schatten of om andere leverziekten uit te sluiten.

Vervolgens moet de behandelend arts, na de diagnose PBC, het stadium van de ziekte (mate van leverfibrose tot cirrose) beoordelen. Hiervoor kan een lever elastografie worden gebruikt. De definitieve diagnose wordt vaak gebaseerd op een combinatie van bloedonderzoek, resultaten van elastografie, beeldvorming van de lever (meestal echo) en klinische symptomen.

## Wat kan uw arts (hepatoloog) doen?

Een snelle en nauwkeurige diagnose is essentieel om de juiste behandeling te bepalen. Aangezien PBC een zeldzame leverziekte is, is het belangrijk dat PBC wordt opgevolgd door hepatologen (deskundigen op het gebied van leverziekten).

Uw arts zal uw casus onderzoeken en u de behandeling(en) voorschrijven die nodig is, en eventueel aanpassen op basis van uw reactie op de behandeling(en), gemeten door bloedonderzoek. Daarnaast beoordeelt hij/zij mogelijke problemen die zich tijdens het ziekteverloop kunnen voordoen, inclusief andere aandoeningen die verband houden met PBC.

De standaard eerstelijnsbehandeling voor PBC is ursodeoxycholzuur (UDCA), dat meestal zeer goed wordt verdragen. De aanbevolen dosering ligt tussen de 13 en 15 mg per kilogram lichaamsgewicht per dag. Uw hepatoloog zal de juiste dosering voor u berekenen, die in de loop van de tijd kan veranderen in geval van aanzienlijke gewichtsveranderingen. Aangezien adequate doseringen van UDCA in verband worden gebracht met een langere levensverwachting en een lager aantal levertransplantaties bij PBC, kan het als cruciaal worden beschouwd om uw lever te beschermen. Bij de meeste patiënten kan de voortschrijdende leverbeschadiging effectief worden gestopt door UDCA.

Als de behandeling met UDCA niet voldoende is om de ziekte te stabiliseren, is aanvullende behandeling wenselijk om de prognose verder te verbeteren. Te overwegen tweedelijnsbehandelingen zijn onder meer obeticholzuur en bezafibraat (of fenofibraat), maar de beschikbaarheid verschilt per land. Samen met uw hepatoloog kunt u bespreken of u naast UDCA een aanvullende behandeling nodig heeft en welke tweedelijnsbehandeling in uw persoonlijke geval het meest geschikt en/of beschikbaar is. Er zijn ook wereldwijd verschillende klinische onderzoeken gaande die de veiligheid en werkzaamheid van nieuwe geneesmiddelen voor PBC evalueren.

Wat de belangrijkste symptomen van PBC betreft, beschikt uw arts over verschillende behandelingen om de jeuk onder controle te krijgen. Helaas is er nog steeds geen medicijn dat vermoeidheid verbetert. Het is aanbevolen factoren die de vermoeidheid kunnen verergeren, zoals ongunstige slaapstoornissen, bloedarmoede of lichamelijke inactiviteit, te corrigeren.

## Wat kan je doen?

Uw hepatoloog is verantwoordelijk voor de klinische behandeling van uw PBC en de coördinatie met andere specialisten in samenwerking met uw huisarts.

Maar u als patiënt heeft ook verantwoordelijkheden:

1. voorgeschreven behandelingen nauwgezet volgen, aangezien dit fundamenteel is voor het succes van de behandeling
2. consultaties vooraf goed voorbereiden, wat dialoog met uw arts zal vergemakkelijken en zo uw begrip van uw eigen medische situatie zal verbeteren

Bij een chronische ziekte als PBC is er sprake van een langdurige relatie tussen arts en patiënt. Deze relatie moet vanaf het begin worden opgebouwd en onderhouden.

Als u besluit alternatieve niet-voorgeschreven behandelingen of producten te gebruiken, dient u dit eerst met uw arts te bespreken. Dergelijke inname kan nadelige gevolgen hebben.

## Hoe PBC opvolgen?

Hoe PBC wordt gecontroleerd, is afhankelijk van de ernst van de ziekte. Gewoonlijk wordt PBC gecontroleerd door evaluatie van symptomen, bloedonderzoek, lever elastografie en, in sommige gevallen, abdominale echografie en endoscopie.

Bloedonderzoek wordt over het algemeen elke 6 tot 12 maanden aanbevolen, dit afhankelijk van de ernst en stabiliteit van de ziekte. Jongere vrouwen, mannelijke patiënten en patiënten die cirrose hebben ontwikkeld, hebben mogelijk speciale aandacht nodig, waaronder regelmatig echografisch onderzoek van de buik.

Patiënten met PBC kunnen een verhoogd risico op osteoporose (verminderde botdichtheid) hebben. Daarom kunnen botdichtheidstesten (botdensitometrie) en preventieve maatregelen noodzakelijk zijn.

Lever elastografie is ook nuttig om de ziekte op te volgen en kan in de loop van de tijd regelmatig worden herhaald (bijv. elke 1-2 jaar, afhankelijk van de klinische context).

Zeer zelden heeft een PBC-patiënt een levertransplantatie nodig. Een levertransplantatie geeft goede langetermijnresultaten.

## Heb ik een speciaal dieet nodig?

Er is geen speciaal dieet voor PBC. Een gezond, uitgebalanceerd dieet wordt aanbevolen, net zoals voor de algemene bevolking. Het is bekend dat een dieet met te veel suiker en/of te veel vet (leidend tot steatose of leververvetting) ook leverbeschadiging kan veroorzaken. Patiënten worden aangemoedigd om roken en overmatig alcoholgebruik te vermijden.

Vermijd supplementen zonder eerst uw arts hierover te raadplegen.

Naast deze algemene adviezen kan uw arts ook specifieke aanbevelingen voor u persoonlijk aanreiken.

## Mag ik een gezin hebben?

Ja, als u in de vruchtbare leeftijd bent, kunt u uw wens om zwanger te worden met uw arts bespreken. Hij/zij kan u advies geven, afhankelijk van het stadium van uw ziekte. Zwangerschap en borstvoeding zijn mogelijk voor de grote meerderheid van de vrouwelijke patiënten.

Vaak vragen jongere vrouwen of ze PBC kunnen doorgeven aan hun kinderen. PBC is geen erfelijke ziekte omdat het niet wordt veroorzaakt door een specifiek genetisch defect dat wordt doorgegeven van ouders op hun kinderen. Er lijkt echter vaak een genetische predispositie (aanleg) te zijn binnen families.

## Vaccinaties

Vaccinaties tegen hepatitis A- en B-virussen en pneumokokkeninfecties (bacteriën) worden aanbevolen, ook voor COVID-19. Afhankelijk van de aanbevelingen van uw land kan vaccinatie tegen griep elk najaar overwogen worden. Over het algemeen worden patiënten > 65 jaar en patiënten met cirrose geadviseerd een herhaalde griepvaccinatie te ondergaan. Als u besluit om andere vaccins te krijgen, dient u met uw arts te overleggen of dit in uw specifieke geval mogelijk is.

## Is PBC een besmettelijke ziekte?

Nee. PBC is niet besmettelijk.

## Hoe vind ik een specialist?

PBC is een zeldzame ziekte en daarom heeft mogelijk niet elke arts voldoende ervaring om patiënten met PBC te behandelen. Patiënten met PBC worden idealiter begeleid door een medisch specialist in een ziekenhuis waar men ervaring heeft met het behandelen van PBC.

Sommige ziekenhuizen maken deel uit van een nationaal netwerk voor zeldzame leverziekten en/of het Europese netwerk voor zeldzame leverziekten, ERN RARE-LIVER.

Ga voor meer informatie over ERN RARE-LIVER naar de website: <https://rare-liver.eu/>

## Vind informatie en ondersteuning

Patiëntenorganisaties zijn belangrijk om de impact van een PBC-diagnose het hoofd te bieden, ervaringen te delen en de dialoog met zorgverleners te faciliteren. Bij een zeldzame ziekte is het belangrijk om te begrijpen wat er met je gezondheid gebeurt. Daarnaast geven patiëntenorganisaties u steun en zorgen ervoor dat u zich meer begeleid voelt om uw toestand het hoofd te bieden. U kunt patiëntenorganisaties in uw land vinden op de ERN RARE-LIVER-website (<https://rare-liver.eu/patients/patient-organisations>).

## Disclaimer (vrijwaring)

De gratis informatie op onze website is naar best vermogen samengesteld om geïnteresseerde lezers een eerste overzicht te geven van mogelijke ziekten en behandelingsmogelijkheden. Ze zijn uitsluitend bedoeld voor informatieve doeleinden en vervangen in geen geval persoonlijk advies, onderzoek of diagnose door bevoegde artsen.