ERN RARE-LIVER
European Reference Network on Hepatological Diseases

Primární biliární cholangitida (PBC)

Co je PBC?

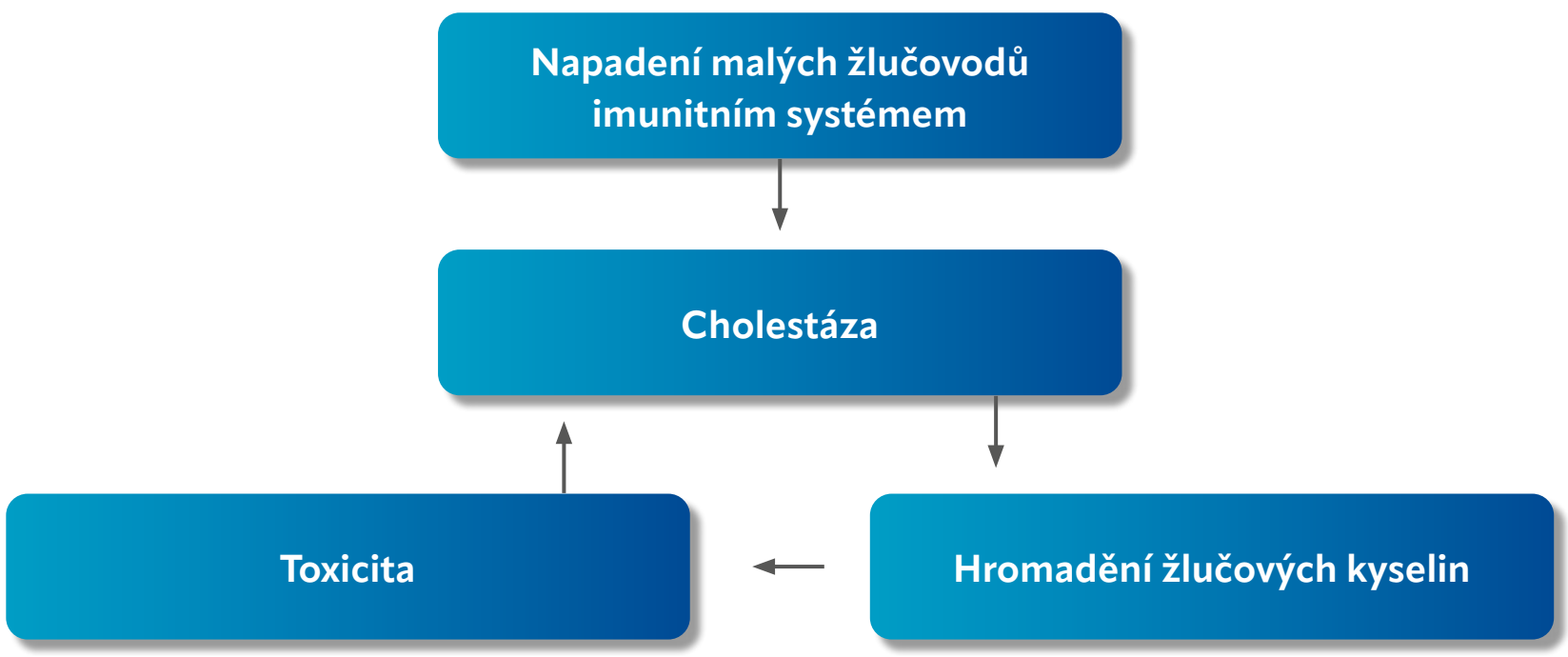
Primární biliární cholangitida (PBC), dříve nazývaná primární biliární cirhóza, je chronické zánětlivé autoimunitní onemocnění jater, které postihuje malé nitrojaterní žlučovody. Časem může PBC vést k fibróze a v konečném důsledku k cirhóze.

Pojem fibróza označuje přítomnost zjizvené tkáně zjištěné histologickým vyšetřením jaterní biopsie. Mezi další způsoby průkazu fibrózy patří krevní testy a elastografické vyšetření.

Chronický zánět jater ničí jaterní buňky, což vede k jaterní fibróze. Tato fibrózní tkáň obklopuje abnormální uzlíky vznikající neuspořádanou regenerací zničených jaterních buněk. Následkem je postupné zhoršování funkce jater související se změnou fibrózy v cirhózu. S cirhózou se dá žít, ale je důležité přísné a správné sledování.

Imunitní systém vytváří protilátky, které chrání lidské tělo před vnějšími nepříznivými vlivy (viry, bakterie). V případě autoimunitního onemocnění imunitní systém napadá složky vlastního těla a v případě PBC jsou protilátky namířeny proti malým žlučovodům, čímž vzniká cholestáza.

Cholestáza znamená, že játra nejsou schopna náležitě vylučovat žluč do střeva, což je hlavní důsledek poškození žlučovodů vyvolaný autoimunitní reakcí při PBC. Hromadění žluči v játrech je toxické a vede k přetrvávajícímu zánětu a rozvoji vazivových jizev, které pak zhoršují cholestázu v začarovaném kruhu, který je znázorněn níže.



Jedním z cílů léčby PBC je zamezit zhoršování cholestázy a přerušit tak začarovaný kruh postupného poškozování jater.

Včasná diagnóza je zásadní, aby léčba dokázala zabránit nebo zpomalit progresi choroby. Pacienti, kteří jsou diagnostikováni včas a dobře odpovídají na léčbu, mají naději dožití podobnou jako pacienti bez tohoto onemocnění. Naštěstí je tomu tak u většiny pacientů.

European Reference Network
Hepatological Diseases (ERN RARE-LIVER)

Informace pro pacienty, 04/2024
Překlad Soňa Fraňková

https://rare-liver.eu

ERN RARE-LIVER
European Reference Network on Hepatological Diseases

Primární biliární cholangitida (PBC)

Koho postihuje?

Devadesát procent pacientů s PBC jsou ženy a většina pacientů je diagnostikována ve věku od 35 do 55 let. Prevalence onemocnění (počet případů na celkový počet obyvatel dané oblasti) u žen nad 40 let věku se přibližně odhaduje na 1 případ z tisíce. Proto je PBC považována za vzácné onemocnění.

Proč mám PBC?

Příčina tohoto onemocnění jater není známá. Za autoimunitní dysfunkci spouštějící rozvoj PBC může být považována genetická predispozice spolu s faktory prostředí.

Jaké mohou být příznaky onemocnění?

Řada pacientů je v době diagnózy bez příznaků. V průběhu onemocnění pacienti často uvádějí únavu a svědění. Další příznaky mohou zahrnovat poruchy soustředění, bolesti kloubů a bolesti v pravém horním břišním kvadrantu. Někteří pacienti mají suché oči nebo sucho v ústech, což může být někdy spojeno s jinými autoimunitními chorobami, které PBC doprovázejí.

Příznaky zřídka vedou k diagnóze PBC, protože jsou často nenápadné a ne vždy přítomné. Intenzita příznaků, zejména únavy, obecně nemá vztah k závažnosti onemocnění.

V některých případech mohou pacienti trpět jinými autoimunitními chorobami a/nebo syndromy, včetně Sjögrenova syndromu nebo Hashimotovy thyroiditidy. Tyto stavy vyžadují léčbu lékaři jiných odborností a často je potřebná spolupráce mezi několika různými specialisty.

Jak se PBC diagnostikuje?

PBC se v dnešní době většinou diagnostikuje běžnými krevními testy. Abnormální jaterní testy, které svědčí pro cholestázu, vedou lékaře k dovyšetření jaterní choroby. PBC se obvykle diagnostikuje snadno na základě kombinace chronické cholestázy a detekovatelných antimitochondriálních protilátek (AMA) nebo antinukleárních protilátek specifických pro PBC. AMA protilátky mohou být odhaleny u více než 90 procent pacientů.

Hlavní abnormalitou krevních testů v případě PBC jsou zvýšené aktivity alkalické fosfatázy (ALP) a/nebo gama-glutamyltransferázy (GGT), které jsou spojeny se zánětem žlučovodů, a zvýšená koncentrace imunoglobulinu M (IgM). Alaninaminotransferáza (ALT) a aspartátaminotransferáza (AST) jsou také často nad horní hranicí normy, což nemusí nutně znamenat souběžnou přítomnost autoimunní hepatitidy (AIH).

Jaterní biopsie se zvažuje pouze v určitých případech. Jaterní biopsie není součástí běžného stanovení diagnózy PBC, ale může být užitečná, pokud existuje podezření na PBC, ale autoprotilátky nejsou detekovatelné. Navíc může být jaterní biopsie užitečná ke stanovení rozsahu poškození žlučovodů nebo potřebná k vyloučení jiných souvisejících jaterních chorob, jako je AIH nebo nealkoholická tuková choroba jater (z anglického nonalcoholic fatty liver disease, NAFLD).

Po stanovení diagnózy PBC musí ošetřující lékař posoudit stadium onemocnění (stupeň jaterní fibrózy nebo cirhózu). Pro tyto účely může být využita jaterní elastografie. Konečné určení fáze onemocnění obvykle vychází z kombinovaného vyšetření pomocí jaterních testů, elastografie, zobrazovacích metod a posouzení klinických příznaků.

Informace pro pacienty, 04/2024
Překlad Soňa Fraňková
https://rare-liver.eu

ERN RARE-LIVER
European Reference Network on Hepatological Diseases

Primární biliární cholangitida (PBC)

Co může dělat váš lékař (hepatolog)?

Pro stanovení vhodné léčby je nutná rychlá a přesná diagnóza. Protože PBC je vzácná jaterní choroba, je důležité její sledování hepatology (odborníky na nemoci jater).

Váš lékař zhodnotí váš případ a předepíše vám potřebný lék nebo léky, jejichž účinek se následně hodnotí krevními testy. Kromě toho bude posuzovat případné problémy, které mohou v průběhu onemocnění nastat, včetně souběžných onemocnění k PBC přidružených.

Standardní léčbu první linie v případě PBC představuje kyselina ursodeoxycholová (UDCA), která je obvykle velmi dobře snášena. Doporučené dávkování je 13–15 mg na kg tělesné hmotnosti za den. Správnou dávku vám vypočítá váš hepatolog a tato dávka se může v průběhu času měnit v případě významných změn tělesné hmotnosti. Adekvátní dávky UDCA jsou spojeny s prodloužením života a menším počtem transplantací jater u pacientů s PBC, proto je lze považovat za zásadní způsob ochrany vašich jater. U většiny pacientů UDCA skutečně dokáže účinně zastavit nebo zpomalit postupné poškozování jater.

Pokud léčba pomocí UDCA nestačí ke stabilizaci stavu pacienta, je pro zlepšení prognózy potřeba nasadit ještě další léčbu. Jako léčba druhé linie se obvykle zvažuje bezafibrát nebo fenofibrát, ale dostupnost těchto léků se v různých zemích liší. Se svým hepatologem můžete probrat, zda potřebujete další léčbu jako doplněk k UDCA, a také, jaká léčba druhé linie je dostupná a ve vašem konkrétním případě nejvhodnější. Ve světě také probíhá několik klinických studií hodnotících účinnost a bezpečnost nových léků na PBC.

Pokud jde o hlavní příznaky PBC, váš lékař má několik možností, jak léčit svědění. Bohužel však zatím neexistuje lék, který by snižoval únavu. Doporučuje se proto úprava faktorů, které mohou únavu zhoršovat, jako je nežádoucí narušení spánku, anémie nebo nedostatek fyzické aktivity.

Co můžete dělat vy

Váš hepatolog je odpovědný za léčbu PBC, koordinaci s ostatními specialisty a vaším praktickým lékařem.

Vy jako pacient máte také své povinnosti:

1. Dodržovat předepsanou léčbu, protože bez toho nemůže být úspěšná
2. Připravovat se na návštěvy lékaře, aby s ním byl snazší rozhovor a abyste stále lépe rozuměli svému zdravotnímu stavu

V případě chronických onemocnění, jako je PBC, vzniká mezi lékařem a pacientem dlouhodobý vztah. Tento vztah je třeba budovat a udržovat od počátku.

Měli byste se předem poradit s lékařem, pokud se rozhodujete užívat alternativní léky nebo preparáty, které vám lékař nepředepsal. Z jejich užití by totiž mohly vzniknout nežádoucí účinky.

.

Jak se PBC sleduje?

Sledování PBC závisí na závažnosti onemocnění. PBC se obvykle sleduje vyhodnocováním příznaků, krevními testy, jaterní elastografií a v některých případech ultrazvukem břicha a endoskopickým vyšetřením trávicího traktu.

Krevní testy se obecně doporučují jednou za 6–12 měsíců, v závislosti na závažnosti a stavu onemocnění. Zvláštní pozornost, včetně pravidelných ultrazvukových vyšetření břicha, mohou vyžadovat mladší ženy, pacienti mužského pohlaví a pacienti, u nichž se vyvinula cirhóza.

Informace pro pacienty, 04/2024
Překlad Soňa Fraňková
https://rare-liver.eu

Primární biliární cholangitida (PBC)

Pacienti s PBC mohou mít zvýšené riziko osteoporózy (řídnutí kostí). Vyšetření hustoty kostí (kostní denzitometrie) a preventivní opatření proto mohou být nezbytné.

Pro monitorování pokročilosti onemocnění je také užitečná jaterní elastografie, kterou lze pravidelně opakovat (podle klinického kontextu například každý rok nebo jednou za dva roky).

Velmi vzácně potřebuje pacient s PBC transplantaci jater. Pokud ji podstoupí, tak má dobré dlouhodobé výsledky.

Potřebuji speciální dietu?

Pro PBC neexistuje žádná speciální dieta. Doporučuje se zdravá a vyvážená strava, stejně jako v případě obecné populace. Je známo, že játra může poškozovat strava s vysokým obsahem cukrů a/nebo tuků(která vede ke steatóze neboli nadměrnému ztučnění jater). Pacientům je doporučeno nekouřit a vyvarovat se nadměrné konzumace alkoholu.

Neužívejte žádné doplňky stravy, aniž byste se předem poradili se svým lékařem.

Kromě těchto obecných rad může mít váš lékař pro vás zvláštní doporučení přímo pro vás.

Mohu mít rodinu?

Ano. Pokud jste žena v reprodukčním věku, proberte své přání otěhotnět se svým lékařem. Podle stádia vašeho onemocnění vám poskytne potřebná doporučení. Většina pacientek ženského pohlaví zvládne těhotenství i kojení.

Mladé ženy se často ptají, jestli mohou PBC přenést na své dítě. PBC není dědičné onemocnění a není způsobeno konkrétní genetickou vadou, která by se přenesla z rodičů na jejich děti. Zdá se však, že existuje jistá geneticky podmíněná náchylnost k tomuto onemocnění.

Očkování

Doporučuje se očkování proti viru hepatitidy A i B a proti pneumokokovým infekcím (bakteriálním), a dále proti nemoci COVID-19. V závislosti na doporučeních vaší země lze na podzim zvážit očkování proti chřipce. Obecně se pravidelné očkování proti chřipce doporučuje všem pacientům nad 65 let věku a pacientům s cirhózou. Pokud se rozhodnete nechat se očkovat proti jiným chorobám, poraďte se se svým lékařem, zda je to ve vašem konkrétním případě možné.

Je PBC infekční onemocnění?

Ne. Onemocnění PBC není ani infekční, ani nakažlivé.

Informace pro pacienty, 04/2024
Překlad Soňa Fraňková

https://rare-liver.eu

ERN RARE-LIVER
European Reference Network on Hepatological Diseases

Primární biliární cholangitida (PBC)

Jak najdu vhodného specialistu?

PBC je vzácné onemocnění, proto ne každý lékař má dostatek zkušeností, aby mohl pacienty s PBC léčit. V ideálním případě pacienty s PBC sleduje a léčí specialista v nemocnici, který má s léčbou PBC zkušenosti.

Některé nemocnice jsou členem národní a/nebo celoevropské sítě pro léčbu vzácných onemocnění jater ERN RARE-LIVER. To znamená, že pacienti léčení v nemocnicích, které jsou členy těchto sítí, mohou těžit z odborných znalostí specialistů pracujících v jiných nemocnicích v rámci této sítě. Diskuse o případech, které v síti probíhají, mohou pomoci řešit i velmi vzácné a neobvyklé případy.

Další informace o síti ERN RARE-LIVER naleznete na webových stránkách na této adrese: https://rare-liver.eu/

Najděte informace a podporu

Aby bylo možno lépe se vyrovnat s dopadem diagnózy PBC, seznámit se se zážitky jiných pacientů a snáze komunikovat s poskytovateli zdravotní péče, jsou tu pacientské organizace. V případě vzácného onemocnění je důležité pochopit, co se s vaším zdravotním stavem děje. Kromě toho vám organizace pacientů mohou poskytnout podporu a pocit, že se svou nemocí nejste sami. Kontakty na pacientské organizace ve vaší zemi naleznete na webových stránkách ERN RARE-LIVER (https://rare-liver.eu/patients/patient-organisations).

Právní informace

Údaje, které jsou bezplatně k dispozici na našich webových stránkách, byly shromážděny na základě našich nejlepších aktuálních znalostí s cílem poskytnout zájemcům první přehledné informace o onemocněních a možnostech jejich léčby. Jsou určeny pouze pro informativní účely a nemohou nahradit osobní poradenství, vyšetření nebo diagnózu odborného lékaře.

European Reference Network

Hepatological Diseases (ERN RARE-LIVER)

Informace pro pacienty, 04/2024
Překlad Soňa Fraňková

https://rare-liver.eu