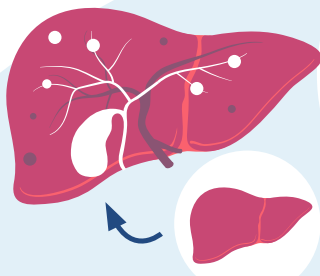


Die Auswirkungen der primär biliären Cholangitis (PBC)

Über PBC

Bei Menschen mit PBC greift der Körper die kleinen Gallengänge der Leber an und zerstört sie allmählich.² Bleibt die Krankheit unbehandelt, können sich Galle und Giftstoffe ansammeln (Cholestase). Das kann zu einer **Vernarbung der Leber** (Zirrhose) und schließlich zu **Leberversagen** führen.^{1,2,3}



Bei Patient*innen mit fortgeschrittener PBC aufgrund von zirrhosebedingten Komplikationen, Leberversagen oder unbeherrschbaren, schweren Symptomen kann eine **Lebertransplantation** angezeigt sein.^{1,3}

PBC ist eine **selten**e, autoimmune, cholestatische **Lebererkrankung** mit weltweit steigender Prävalenz.¹



PBC wird nicht durch Alkoholkonsum oder andere Lebensstilfaktoren verursacht. Vielmehr gibt es Hinweise auf eine genetische Veranlagung für die Krankheit.^{5,6}



Frauen haben ein höheres Risiko, an PBC zu erkranken als Männer. **Tatsächlich sind 9 von 10 Menschen, die mit PBC leben, Frauen.**³ Die Gründe dafür sind weitgehend unbekannt.⁴

PBC-Symptome können sich negativ auf die Lebensqualität einer Person auswirken.⁷



95%

Müdigkeit, von der 95% der Patient*innen betroffen sind.^{8,9}



70%

Juckreiz (Pruritus), von dem 70% der Patient*innen betroffen sind.⁹



73%

Begleitende **Autoimmunerkrankungen** treten bei bis zu 73% der Patient*innen auf – u. a. das Sjögren-Syndrom und Schilddrüsenerkrankungen (bei bis zu 73% bzw. 24%).¹⁰

PBC-Symptome können zu Depressionen, Schlafentzug und Suizidgedanken führen.¹¹

Auch wenn einige Patient*innen mit PBC keine Symptome zeigen, besteht für sie dennoch das Risiko eines Fortschreitens der Krankheit und einer Leberschädigung.¹²

“Ich fing an, mich wirklich müde zu fühlen ... dann bekam ich stark schmerzende Gelenke. Der Juckreiz war einfach furchtbar. Ich konnte nicht schlafen. Meine Haut war wund und infiziert. Wir haben viele verschiedene Behandlungen ausprobiert, aber nichts half. Aufgrund meiner stark eingeschränkten Lebensqualität wurde ich schließlich für eine Transplantation überwiesen.” - Mo, die mit PBC lebt.

Die derzeitigen Behandlungsmöglichkeiten für PBC sind begrenzt

Die **aktuelle Erstlinienbehandlung ist bei bis zu 40% der Patient*innen mit PBC nicht ausreichend wirksam**, was ihr Risiko für eine Leberzirrhose, die Notwendigkeit einer Lebertransplantation oder sogar tödliche Komplikationen erhöht.^{13,14}

Die derzeitigen **Zweitlinienbehandlungen** können bei manchen Menschen **die Symptome verschlimmern**.¹⁵ Das kann eine Dosisanpassung zur Folge haben oder zu einer Unterbrechung oder einem Therapieabbruch führen.^{16,17} Deshalb ist der Bedarf an alternativen Zweitlinientherapien hoch.

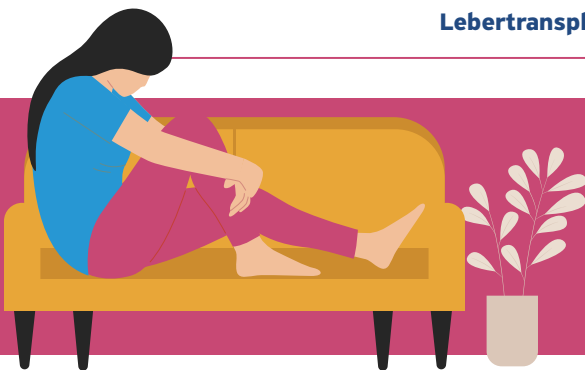


PBC ist **mit erheblichen Gesundheitskosten** verbunden, die mit dem Fortschreiten der Erkrankung und dem Auftreten von Komplikationen steigen.

Die meisten unmittelbaren Gesundheitskosten bei PBC sind mit der stationären Behandlung verbunden:¹⁸

Im Jahr 2021 wurden in Deutschland **4231** PBC Patient*innen hospitalisiert.¹⁹ Der durchschnittliche Krankenhausaufenthalt betrug dabei **8,9 Tage**.¹⁹ Insgesamt beliefen sich die Kosten der Hospitalisierung von PBC Patient*innen auf mehr als **15,5 Millionen Euro**.¹⁹ Diese Zahlen stellen eine zunehmende Belastung für das Gesundheitssystem dar – insbesondere, da die Rate der PBC-bedingten Krankenhausaufenthalte innerhalb von 7 Jahren um mehr als ein Drittel gestiegen ist.²⁰

Die Gesundheitskosten sind bei Patient*innen, die eine Lebertransplantation benötigen, am höchsten.¹⁸



Bis zu **60%** der Menschen mit PBC können aufgrund der Symptomlast ihre Arbeit nicht mehr vollumfänglich ausüben. Dies kann erhebliche finanzielle Auswirkungen durch die eingeschränkte Arbeitsfähigkeit zur Folge haben.⁹

Die mit PBC verbundenen Kosten für das Gesundheitssystem tragen erheblich zur sozioökonomischen Belastung der Erkrankung bei.

Mit fortschreitenden Symptomen der PBC sind viele Patient*innen nicht mehr in der Lage, ihren Alltag vollständig selbstständig zu bewältigen. Dies kann dazu führen, dass Freunde und Familie unentgeltlich Pflege übernehmen müssen, was wiederum zu weiteren Arbeitsausfällen und Einkommensverlust führen kann.^{23,24}



Blick in die Zukunft

1



Eine verbesserte Kommunikation zwischen Ärzt*innen und Patient*innen ist entscheidend für ein ganzheitliches Management von PBC und den Auswirkungen der damit einhergehenden Symptome.

2



Aktuelle Behandlungsoptionen sind limitiert und können nur begrenzt wirksam sein. Neue wirksamere Therapien, die die Symptomlast reduzieren, haben das Potenzial, das Gesundheitssystem und die Gesellschaft zu entlasten.

3



Fast ein Jahrzehnt lang hat es an Innovationen für die Behandlung von PBC gefehlt. Von den aktuell in Entwicklung befindlichen Therapieoptionen könnten vor allem diejenigen Patient*innen profitieren, die nicht auf bestehende Therapien ansprechen oder eine Unverträglichkeit entwickelt haben.

References

1. Younossi ZM, et al. 2019. Diagnosis and Management of Primary Biliary Cholangitis. *Am J Gastroenterol*. 114(1):48-63.
2. European Association for the Study of the Liver. 2017. EASL Clinical Practice Guidelines: The diagnosis and management of patients with primary biliary cholangitis. *J Hepatol*. 67(1):145-172.
3. Galoosian A, et al. 2020. Clinical updates in primary biliary cholangitis: trends, epidemiology, diagnostics, and new therapeutic approaches. *J Clin Transl Hepatol*. 8(1), pp. 49-60.
4. Smyk DS, et al. 2012. Sex differences associated with primary biliary cirrhosis. *Clin Dev Immunol*. 610504.
5. Primary Biliary Cholangitis. British Liver Trust. <https://britishlivertrust.org.uk/information-and-support/liver-conditions/primary-biliary-cholangitis/>. Accessed October 2023.
6. Joshita S, et al. 2018. Genetics and epigenetics in the pathogenesis of primary biliary cholangitis. *Clin J Gastroenterol*. 11, 11-18.
7. Selmi C, et al. 2007. Quality of life and everyday activities in patients with primary biliary cirrhosis. *Hepatology*. 46(6), pp.1836-1843.
8. Mells GF, et al. 2013. Impact of Primary Biliary Cholangitis on Perceived Quality of Life: The UK-PBC National Study. *Hepatology*. 58: 273-283.
9. C Levy, et al. 2023. Understanding the Experience of Patients with Primary Biliary Cholangitis and Pruritus. Abstract presented at ISPOR, 7-11 May 2023, Boston.
10. Chalfoux SL, et al. 2017. Extrahepatic Manifestations of Primary Biliary Cholangitis. *Gut*. 15;11(6):771-780.
11. Gungabissoon U, et al. 2022. Disease burden of primary biliary cholangitis and associated pruritus based on a cross-sectional US claims analysis. *BMJ Open Gastroenterol*. 9(1), p.e000857.
12. Prince MI, et al. 2004. Asymptomatic primary biliary cirrhosis: clinical features, prognosis, and symptom progression in a large population based cohort. *Gut*. 53(6), pp.865-870.
13. Ali AH, Byrne TJ, Lindor KD. 2015. Orphan drugs in development for primary biliary cirrhosis: challenges and progress. *Orphan Drugs: Research and Reviews*. 5(1), pp.83-97 numbers.
14. Corpechot C, et al. 2011. Early primary biliary cirrhosis: biochemical response to treatment and prediction of long-term outcome. *J Hepatol*. 55:1361-7.
15. Aquilar MT and Chasca DM. 2020. Update on emerging treatment options for primary biliary cholangitis. *Hepat Med*. Pp.69-77.
16. Floreani A, et al. 2022. Update on the Pharmacological Treatment of Primary Biliary Cholangitis. *Biomedicines*. 10(2033):Pp 10-15.
17. Hirschfeld GM, et al. 2018. The British Society of Gastroenterology/UK-PBC primary biliary cholangitis treatment and management guidelines. *Gut*. 67:1568-1594.
18. Gerussi A, et al. 2021. Cost of illness of Primary Biliary Cholangitis - a population-based study. *Dig Liver Dis*. 53:1167-1170.
19. Galoosian A, et al. 2019. 1483 - In-Hospital Healthcare Resource Utilization Among Patients with Primary Biliary Cholangitis Exceeds \$120 Million U.S. Dollars in 2014: An Analysis of the 2007-2014 National Inpatient Sample. *Gastroenterol*. 156:S1322-S1323.
20. Sayiner M, et al. 2019. Primary Biliary Cholangitis in Medicare Population: The Impact on Mortality and Resource Use. *Hepatalol*. 69:237-244.
21. Adejumo AC, et al. 2021. Gender and Racial Differences in Hospitalizations for Primary Biliary Cholangitis in the USA. *Dig Dis Sci*. 66:1461-1476.
22. Rice S, et al. 2021. Effects of Primary Biliary Cholangitis on Quality of Life and Health Care Costs in the United Kingdom. *Clin Gastroenterol Hepatol*. 19:768-776 e10.
23. NHS. National Schedule of NHS Costs Year : 2020-21. All NHS trusts and NHS foundation trusts - HRG Data. Verfügbar unter: https://www.england.nhs.uk/wp-content/uploads/2022/07/2_National_schedule_of_NHS_costs_FY20-21.xlsx. Zuletzt aufgerufen: Oktober 2023.
24. Luk KM, et al. 2020. The Annual Direct and Indirect Health Care Costs for Patients with Chronic Pruritus and their Determining Factors. *J Invest Dermatol*. 140:699-701 e5.
25. Statistics OfN. Unpaid care, England and Wales: Census 2021. Verfügbar unter: <https://www.ons.gov.uk/peoplepopulationandcommunity/healthandsocialcare/healthandwellbeing/bulletins/unpaidcareenglandandwales/census2021>. Zuletzt aufgerufen: Oktober 2023.