

Communiqué de presse
Le 22 février 2018

Cholangite Biliaire Primitive : une maladie rare du foie à diagnostiquer plus précocément

Journée internationale des maladies rares, le 28 février 2018

A l'occasion de la journée internationale des maladies rares, le 28 février, l'association de patients Albi, le centre de Référence des Maladies Inflammatoires de Voies Biliaires et des Hépatites Auto-Immunes (MIVB-H) et la Filière des Maladies rares du Foie (FILFOIE), avec le soutien institutionnel du laboratoire Intercept, spécialisé dans les maladies hépatiques non virales, alertent à propos de la Cholangite Biliaire Primitive cette maladie rare, dont les conséquences peuvent être sérieuses voire dramatiques sur le long terme. Insidieuse, cette maladie rare du foie doit être prise en charge le plus tôt possible, car non soignée ou insuffisamment contrôlée, elle peut aboutir à une cirrhose.

Dans cette maladie rare dont les symptômes cliniques sont peu spécifiques (fatigue, démangeaisons,...), tous les éléments sont rassemblés pour faire de la Cholangite Biliaire Primitive (CBP) une maladie silencieuse. Maladie inflammatoire auto-immune complexe, la CBP fait partie des maladies caractérisées par une mauvaise élimination des acides biliaires, qui aboutit à des lésions et à une accumulation de substances potentiellement toxiques dans le foie. Ces lésions conduisent progressivement à la fibrose, puis évoluent en cirrhose, potentiellement mortelle si une transplantation hépatique n'est pas possible.

En France, l'incidence de la CBP est estimée à 650 nouveaux cas par an, pour une prévalence de 16 000 patients, dont près de 14 000 femmes.

Importance d'un diagnostic précoce

Diagnostiquée précocement, avec une prise en charge efficace, la CBP a plus de chance d'être contrôlée et de peu évoluer. Dans ce cas, l'espérance de vie sans complication hépatique (cirrhose, hypertension portale, insuffisance hépatique...) des patients est alors identique à celle de la population générale.

La Cholangite Biliaire Primitive (CBP)

- Maladie inflammatoire auto-immune qui atteint le foie
- Touche majoritairement les femmes (9 femmes pour 1 homme)
- 650 nouveaux cas par an
- Diagnostiquée entre 30 et 70 ans, pic à la cinquantaine
- Découverte fortuitement lors d'un bilan biologique hépatique perturbé

Devant la présence inexplicée d'un des symptômes précédemment évoqués (fatigue, prurit ou sécheresse oculaire) le médecin doit penser à réaliser un bilan biologique à partir d'une simple prise de sang. Une augmentation des phosphatases alcalines (PAL) et de la gamma-GT, et/ou de la bilirubine conjuguée permettent de suspecter une cholestase (présence de bile dans le foie en quantité trop importante par défaut d'évacuation de cette dernière). Une recherche immunologique avec des anticorps spécifiques de la CBP suffit en règle générale à poser le diagnostic de la maladie. Une échographie et une mesure de l'élasticité du foie (élastométrie) sont les examens complémentaires, non invasifs, qui permettent de vérifier l'intégrité des grosses voies biliaires et d'évaluer le stade de la maladie.

Un parcours de soins clarifié en 2017

De nouvelles recommandations ont été publiées en 2017 par l'EASL¹ (European Association for the study of the liver, Association Européenne pour l'étude du foie) avec entre autres, l'intégration de la notion de facteurs de risque de développer des complications de la maladie tels que l'âge précoce et le stade de la maladie au moment du diagnostic ; de facteurs de risque de complications dans le suivi de la maladie : la réponse au traitement de première ligne et la cirrhose. Les PAL et la bilirubine sont identifiées comme deux marqueurs prédictifs robustes, une mesure régulière de l'élasticité du foie est recommandée pour suivre l'évolution de la maladie et enfin, ces recommandations se prononcent sur les traitements de 2^{ème} intention.

Le traitement de première intention est l'acide ursodésoxycholique (AUDC) qui est à prendre à vie. Cependant, entre 25% et 50% des patients peuvent présenter une réponse biologique insuffisante à l'AUDC. Il y a donc une nécessité pour les patients atteints de CBP d'être suivis régulièrement, à vie, sur la base d'un suivi des marqueurs biologiques spécifiques (PAL et bilirubine), de la mesure de l'élasticité du foie, et également pour suivre ou dépister d'éventuelles maladies concomitantes nécessitant des niveaux d'attention différents.

Cette sensibilisation des professionnels de santé et des patients aux signes d'alerte de la maladie, au traitement et au suivi, est essentielle pour favoriser le diagnostic, et la surveillance nécessaire du patient tout au long de son parcours de soins. C'est pour cette raison qu'une journée nationale de la CBP a vu le jour l'an dernier et est à nouveau organisée cette année, le 17 mai 2018.

¹ European Association for the Study of the Liver. EASL Clinical Practice Guidelines: The diagnosis and management of patients with primary biliary cholangitis. J Hepatol (2017), <http://dx.doi.org/10.1016/j.jhep.2017.03.022>

2^{ème} Journée nationale d'information des patients CBP et de leur entourage : 17 mai 2018

Le Centre de référence des Maladies Inflammatoires des Voies Biliaires et des Hépatites Auto-Immunes (MIVB-H), l'Association pour la lutte contre les Maladies Inflammatoires du Foie et des Voies Biliaires (Albi) et la Filière santé maladies rares du foie de l'adulte et de l'enfant (FILFOIE), avec le soutien institutionnel du laboratoire Intercept, se sont rassemblés pour organiser la 2^{ème} journée nationale d'information sur la CBP.

Les patients et leur entourage pourront venir s'informer et échanger avec des professionnels de santé afin de mieux comprendre et de mieux vivre la maladie, le jeudi 17 mai de 18H à 21H à Lyon, Marseille, Nancy, Nantes, Paris, Poitiers, Rouen et Toulouse

Objectifs :

- Permettre aux patients et leur entourage d'échanger sur la CBP, entre eux et avec la communauté médicale et scientifique hors consultation.
- Partager l'actualité de la CBP du diagnostic à la prise en charge.
- Rompre l'isolement des patients atteints d'une maladie rare.

En 2017, ce sont 349 participants qui ont pu s'informer auprès de 23 experts lors de la première édition de cette journée organisée dans 9 villes.

Contacts presse

Agence PRPA

Isabelle Closet – Anne Pezet

Tel : 01 77 35 60 95 – Tel : 01 46 99 69 60

isabelle.closet@prpa.fr - anne.pezet@prpa.fr

JEUDI 17 MAI 2018

2° JOURNÉE NATIONALE
D'INFORMATION DES PATIENTS
CBP
ET DE LEUR ENTOURAGE

Lyon Marseille Nancy Nantes Paris Poitiers Rouen Toulouse

Renseignements : journeepatientcbp.rivvactis-medet.com

Organisée grâce au soutien institutionnel de Intercept

En collaboration avec : MIVB-H, albi, FILFOIE

A propos de

L'association albi : Association pour la Lutte contre les maladies inflammatoires du foie et des voies Biliaires L'association ALBI est destinée aux patients de «maladies inflammatoires du foie et des voies biliaires. Ces maladies sont la **CBP** (cholangite biliaire primitive -*anciennement cirrhose biliaire primitive*), **CSP** (cholangite sclérosante primitive), **HAI** (hépatite auto-immune), syndrome LPAC et encore d'autres encore plus rares. Il s'agit de maladies rares et donc peu connues.

L'ambition de l'association est d'aider les malades, de faire connaître ces maladies rares et de soutenir la recherche médicale. En apportant de l'information sur les maladies via le site internet www.albi-france.org et diverses brochures, du soutien par téléphone ou par mail, un échange entre malades via son forum internet, Albi cherche à améliorer le vécu des malades.

Ces maladies rares étant par définition peu connues, Albi travaille pour une prise de conscience des enjeux et problèmes liées aux maladies inflammatoires du foie et des voies biliaires auprès du public, du corps médical, des administrations françaises et internationales. Cela passe par la participation aux rencontres professionnelles, les rencontres avec les acteurs du domaine, les conférences.

Albi a réalisé à plusieurs reprises de grandes études sur le vécu des malades, apportant au corps médical des informations sur leur quotidien, leur perception de la maladie, les soins suivis...

Albi s'engage directement dans le financement de projets de recherche grâce à des dons provenant de ses adhérents et de divers organismes qu'elle a pu mobiliser.

Depuis 2003, l'Association Albi travaille en étroite collaboration avec les Centres de Références et de Compétences mis en place par le Ministère de la Santé et participe à différentes instances comme à l'Alliance Maladies Rares et d'autres collectifs d'associations de patients.

Contacts Albi – Association pour la lutte contre les maladies inflammatoires du foie et des voies biliaires

Contact presse et institutions : Angela Leburgue, présidente : angela@albi-france.org ou 09 77 21 65 47

Contact adhérents et informations malades : 06 85 56 40 21 ou info@albi-france.org

Site internet et forum : www.albi-france.org

Adresse postale : 3 rue Louis le Vau 78000 Versailles

Le Centre MIVB-H : centre de référence des Maladies inflammatoires des Voies Biliaires et des Hépatites Auto-Immunes.

Le centre de référence des Maladies inflammatoires des voies biliaires et des hépatites auto-immunes fait partie des 131 centres de référence « Maladies rares » labellisés depuis 2004 dans le cadre du plan ministériel initié par Jacques Chirac. En 2016, il a reçu le label de centre de référence maladie rares européen (réseau Rare-Liver). En 2017, son domaine d'expertise s'est officiellement étendu à la prise en charge des hépatites auto-immunes.

Constitué d'un centre de référence coordonnateur (hôpital Saint-Antoine, Paris), de 3 centres de référence constitutifs (hôpital Claude Huriez, Lille ; hôpital Michallon, Grenoble; hôpital Paul Brousse, Villejuif) et de 31 centres de compétences (CHU) répartis dans les différentes régions françaises, le réseau MIVBH a notamment pour mission d'animer un réseau national de prise en charge et de surveillance des patients atteints de cholangite biliaire primitive (CBP), de cholangite sclérosante primitive (CSP), d'hépatite auto-immune (HAI) et de lithiase biliaire d'origine génétique (syndrome LPAC).

Il poursuit ainsi différents objectifs : améliorer la prise en charge des patients, homogénéiser les pratiques médicales, faciliter l'accès à l'information dédiée aux patients et aux professionnels de santé non spécialisés, et promouvoir la recherche clinique, épidémiologique et fondamentale.

FILFOIE : Filière de santé maladies rares du foie de l'adulte et de l'enfant. Réunissant l'ensemble des acteurs concernés par la prise en charge des maladies rares du foie de l'adulte et de l'enfant (centres hospitaliers experts, laboratoires de diagnostic et de recherche, associations de patients, sociétés savantes...), Filfoie est une structure labellisée par le ministère des Affaires sociales et de la Santé ayant pour mission de coordonner les actions de tous ces acteurs.

Destinée à améliorer la prise en charge médicale des patients, renforcer les activités de recherche, promouvoir l'enseignement et diffuser l'information relative à ces maladies, Filfoie rassemble 3 centres de référence coordonnateurs (Hôpital Bicêtre, Kremlin-Bicêtre, pour l'atrésie des voies biliaires et cholestases génétiques; Hôpital Beaujon, Clichy, pour les maladies vasculaires du foie ; Hôpital Saint-Antoine, Paris, pour maladies inflammatoires des voies biliaires et hépatites auto-immunes), 6 centres de référence constitutifs, 40 centres de compétences, 4 laboratoires de diagnostic moléculaire, 5 laboratoires de recherche, 3 sociétés savantes, et 4 associations de patients autour d'un double objectif :

- faciliter l'orientation des patients et des professionnels de santé dans un parcours de soins pluridisciplinaire et diminuer ainsi l'errance diagnostique et thérapeutique ;
- et promouvoir les échanges, instaurer des synergies et créer un continuum d'actions entre les acteurs sanitaires, médicosociaux, de recherche et associatifs.

Pour plus d'informations : <http://www.filfoie.com/>

Intercept

Intercept est une société biopharmaceutique spécialisée dans le développement et la commercialisation de traitements innovants des maladies hépatiques évolutives non virales, comme la cholangite biliaire primitive (CBP), la stéato-hépatite non alcoolique (NASH), la cholangite sclérosante primitive (CSP) et l'atrésie biliaire. Fondée en 2002 à New York, Intercept est aujourd'hui implantée aux États-Unis, en Europe et au Canada. Le siège international d'Intercept est situé à Londres. Pour de plus amples informations sur Intercept, rendez-vous sur le site www.interceptpharma.com.