

2^e JOURNÉE NATIONALE
D'INFORMATION DES PATIENTS

CBP

CHOLANGITE
BILIAIRE
PRIMITIVE

ET DE LEUR ENTOURAGE

Jeudi 17 mai 2018 • 18h00 – 21h00

La Cholangite Biliaire Primitive
(CBP)
maladie rare du foie,
parlons-en...



En collaboration avec

**MIVB-H**
CENTRE DE RÉFÉRENCE
MALADIES INFLAMMATOIRES
DES VOIES BILIAIRES ET
HÉPATITES AUTO-IMMUNES

**FILFOIE**
FILIÈRE DE SANTÉ MALADIES RARES
DU FOIE DE L'ADULTE ET DE L'ENFANT

 association pour la lutte contre
les maladies inflammatoires
du foie et des voies biliaires **albi**

Organisée grâce au soutien institutionnel de

Intercept 

Contacts Presse - Agence PRPA

Isabelle Closet - Anne Pezet - Danielle Maloubier

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

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

Sommaire

- ❖ 2^e Journée nationale d'information des patients **Pages 3-4**
- ❖ Deux patients sur trois vivent mal leur maladie **Page 5**
- ❖ La CBP : une maladie rare, invisible, longtemps silencieuse **Pages 6-7**
- ❖ Une prise en charge qui évolue **Page 8**
- ❖ Les acteurs de la 2^{ème} journée nationale d'information des patients **Pages 9-11**

2e Journée nationale d'information des patients CBP et de leur entourage - 17 mai 2018

Face à la CBP, une maladie rare du foie, insidieuse et silencieuse, les malades ont besoin de s'exprimer, de comprendre et de savoir.

La 2ème journée nationale d'information sur la CBP leur en donnera l'occasion.

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, dans huit grandes villes de France.

Cette journée aura lieu le jeudi 17 mai de 18h à 21h dans 8 villes



Caractéristiques de la 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

La journée CBP est de nouveau organisée par les principaux acteurs de cette maladie :

- 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)
- La Filière santé maladies rares du foie de l'adulte et de l'enfant (FILFOIE)
- Avec le soutien institutionnel du laboratoire Intercept

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. Des patients enthousiastes et extrêmement satisfaits de l'approche scientifique et pédagogique de cette journée qui leur a permis ainsi qu'à leurs proches de mieux comprendre leur maladie. 90 % d'entre eux ont demandé une deuxième édition.

Les organisateurs ont donc souhaité renouveler cette opération d'envergure auprès de villes différentes, pour donner accès à l'ensemble de la population française.

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.

Programme :

Intervenants médecins :

- Diagnostic et prise en charge médicale de la CBP

Intervenants ALBI :

- Association ALBI au service des malades
- Discussion et réponses aux questions des participants

Echanges autour d'une collation

Pour s'inscrire : www.journeepatientscbp.com

Par mail : journeepatientscbp@vivactis-medec.com

Par téléphone : 01 46 67 62 17

Deux patients sur trois vivent mal leur maladie

Face à la maladie, que ressentent les patients et quelles sont leurs préoccupations ? Afin de mieux comprendre les attentes et les besoins des patients, l'Association pour la Lutte contre les maladies inflammatoires du foie et des voies Biliaires (albi) a mené différentes enquêtes auprès des patients depuis plus de dix ans.

« Pour aider efficacement les patients et leur entourage, nous devons les connaître, aller à leur rencontre, savoir ce qu'ils ressentent et quels sont leurs besoins. C'est pourquoi, depuis 2005 nous mettons régulièrement en place des études afin de mieux cerner le vécu et les attentes de tous » souligne Madame Angela Leburgue, Présidente de l'Association.

- En 2005 : enquête auprès de 100 personnes sur le vécu de la maladie
- En 2010 : avec BVA auprès de 241 malades et 243 témoins sur le vécu de la maladie
- En 2014 : étude réalisée avec le laboratoire de Psychopathologie et Processus de Santé de L'université Paris Descartes auprès de 264 participants âgés d'une cinquantaine d'années
- En 2017 : 350 participants sur les sujets des préoccupations
- En 2018 : 600 participants sur le vécu de la maladie (résultats en cours d'analyse)

Grâce à ces enquêtes, albi peut offrir un éclairage pertinent à la communauté médicale du ressenti et des préoccupations des patients.

- ❖ **Près de 80 % des patients sont fatigués.** La moitié des patients interrogés précisent que leur vie quotidienne est perturbée. La fatigue est fréquente chez 1 malade sur 5 et régulière pour 1 patient sur 2 (chiffres 2005 et 2010).
- ❖ **Une personne sur cinq n'est pas prise en charge à 100 %** pour cette affection de longue durée et **une personne sur 10 n'est pas suivie par un spécialiste. L'errance diagnostique persiste.**
- ❖ **La moitié des patients présentent un état anxieux avec un état dépressif** pour un quart d'entre eux.
- ❖ **68 % des patients sont préoccupés par la progression de leur maladie et 61 % par leur traitement.** En 2017, pour environ la moitié des patients les sujets de préoccupation les plus évoqués sont les maladies auto-immunes, les douleurs articulaires et la fatigue. Arrivent ensuite l'alimentation, l'origine de la maladie, les médicaments contre indiqués, le mode de vie, les signes d'alerte.

La CBP : une maladie rare, longtemps silencieuse

La Cholangite Biliaire Primitive est une maladie rare touchant les voies biliaires, dont les conséquences peuvent être très sérieuses sur le long terme. Elle doit être prise en charge le plus tôt possible. Non soignée ou insuffisamment contrôlée, elle peut aboutir à une cirrhose et à une insuffisance hépatique terminale.

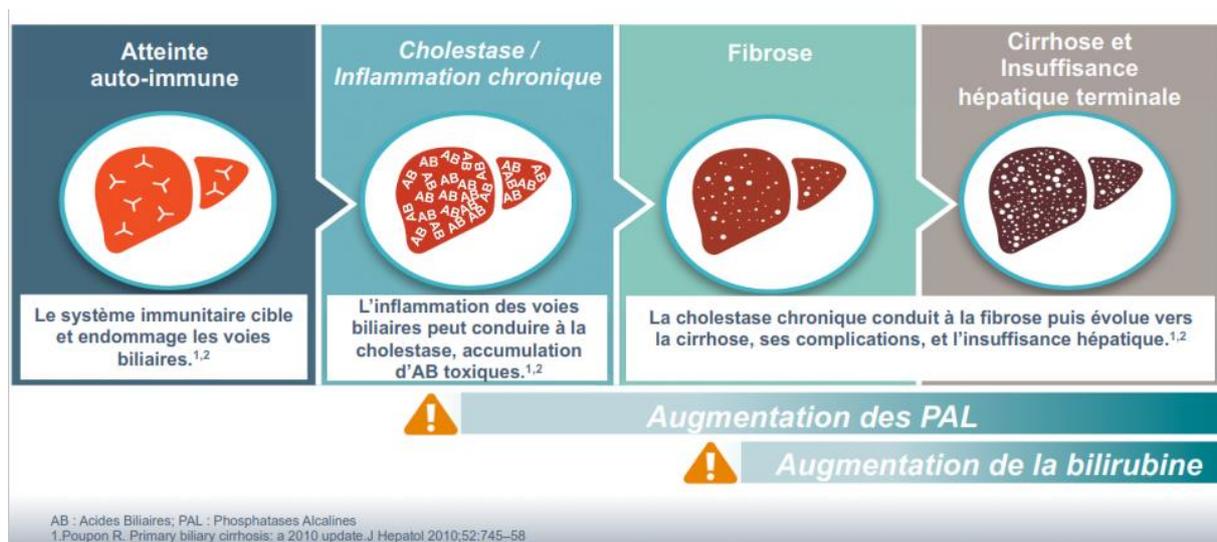
En France, l'incidence de la CBP est estimée à 650 nouveaux cas par an, pour une prévalence de 16 000 patients, dont près de 14 000 femmes.

Maladie inflammatoire auto-immune complexe, la CBP fait partie des maladies caractérisées par une mauvaise élimination des acides biliaires, qui aboutit à des lésions hépatiques en raison de l'accumulation des acides biliaires toxiques dans le foie. Ceci majore l'inflammation, et conduit progressivement à la fibrose, puis la cirrhose, et l'insuffisance hépatique terminale et le décès si une transplantation hépatique n'est pas possible¹.

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. En cas de stabilisation de la maladie par le traitement de première ligne, l'espérance de vie sans complication hépatique (cirrhose, hypertension portale, insuffisance hépatique...) des patients est alors identique à celle de la population générale. Devant la présence inexplicquée d'un des symptômes suivants : **fatigue, prurit ou sécheresse oculaire**, le médecin doit penser à réaliser un bilan biologique sanguin et à doser en particulier les phosphatases alcalines (PAL), marqueur clés de la cholestase avec la gamma-GT. Aux stades avancés, la bilirubine est augmentée. De même, en cas de Gamma-Glutamyl Transférases GGT et de transaminases élevées (ASAT et ALAT), sans cause identifiée, un dosage des phosphatases alcalines permet d'objectiver la cholestase.

Quand la cholestase est avérée, une recherche immunologique avec des anticorps spécifiques de la CBP suffit en général à poser le diagnostic. Une échographie et une mesure de l'élasticité du foie (élastométrie) sont les examens complémentaires, non invasifs, qui permettent de vérifier l'intégrité des gros canaux biliaires et d'évaluer le stade de la maladie.



¹ Poupon R. Primary biliary cirrhosis: a 2010 update. J Hepatol 2010;52:745-58

Un parcours de soins clarifié en 2017

De nouvelles recommandations ont été publiées en 2017 par l'EASL² (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. La réponse est évaluée à l'aide du score de Paris II pour les stades précoces de la maladie qui se définit par l'atteinte des 3 paramètres suivants : $PAL \leq 1.5 \times LSN$ et $ASAT \leq 1.5 \times LSN$ et Bilirubine $\leq 1 \text{ mg/dL}$. **Les Phosphatases Alcalines (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.

² 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>

Une prise en charge qui évolue

La CBP fait partie des affections de longue durée. Le traitement de première intention est l'acide ursodésoxycholique (AUDC) qui est à prendre à vie. L'efficacité de l'AUDC est d'autant meilleure que le traitement est débuté à un stade précoce de la maladie.

Cependant, selon les études, entre 25% et 50% des patients peuvent présenter une réponse biologique insuffisante à l'AUDC. Il y a donc une nécessité pour tous les patients atteints de CBP d'être suivis régulièrement, à vie, car il s'agit d'une maladie chronique. Le suivi comprend le dosage des marqueurs biologiques spécifiques et des mesures régulières de l'élasticité du foie. Un suivi est également nécessaire pour dépister d'éventuelles maladies concomitantes (près de 50% des malades atteints de CBP présentent une autre maladie auto-immune), nécessitant des prises en charge différentes.

Le bon suivi des patients permet de réduire le risque de développer des complications de la maladie et permet de déterminer l'intérêt d'un traitement complémentaire.

Les patients les plus à risque de complications hépatiques liées à la CBP sont ceux qui présentent une réponse inadéquate au traitement à l'AUDC et/ou une cirrhose hépatique. L'évaluation de la réponse biologique après 12 mois de traitement par l'AUDC, est le critère le plus fiable et facilement mesurable pour décider si un patient nécessite un traitement de 2^{ème} ligne³.

L'importance du suivi des patients traités

L'évaluation de la réponse au traitement doit être faite un an (voire 6 mois) après la mise sous traitement par l'AUDC, puis pendant le suivi régulier de la maladie. En cas de réponse insuffisante à l'AUDC, plusieurs éléments doivent être vérifiés : prise du médicament, dosage suffisant, une dysthyroïdie, une maladie cœliaque ou un syndrome de chevauchement avec une HAI (hépatite auto-immune). Si toutes ces raisons sont écartées, alors il faut penser à un traitement de 2ème ligne.

Plusieurs options de traitement de 2ème ligne sont présentées dans les Recommandations Européennes de l'EASL 2017. Certaines ont des données intéressantes, et un seul traitement dispose actuellement d'une autorisation de mise sur le marché : l'acide obéticholique.

³ 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>

Les acteurs de la 2^{ème} journée nationale d'information des patients



albi

L'association albi : Association pour la Lutte contre les 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 albi 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, du soutien par téléphone ou par mail, un échange entre malades via son forum internet, albi cherche à améliorer le vécu des malades. albi travaille également pour une prise de conscience des enjeux et problèmes liées à ces maladies 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. Pour plus d'informations : <https://www.albi-france.org>



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

Il 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.

<https://www.filfoie.com/filiere-filfoie/les-acteurs-de-la-filiere/centres-de-reference/centres-3/>

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. Objectifs : 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 Pharmaceuticals

Intercept Pharmaceuticals est une société biopharmaceutique spécialisée dans le développement et la commercialisation de traitements innovants des maladies hépatiques chroniques et 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 par le Dr Mark Pruzanski, Intercept est aujourd'hui implantée aux États-Unis, en Europe et au Canada, avec un effectif de près de 500 personnes. Le siège international d'Intercept est situé à Londres. Intercept est toujours dans une phase intense de recherche et développement, avec des dépenses en R&D supérieures au chiffre d'affaires réalisé.

La filiale française a été créée en 2015.

Pour plus d'informations : www.interceptpharma.com

Des liens avec les autres acteurs

Depuis 2015, Intercept a tissé un partenariat étroit avec tous les acteurs de la prise en charge de la CBP : l'AFEF, l'ANGH, le CREGG, FILFOIE, albi et a contribué à la diffusion des connaissances scientifiques par le biais d'un soutien aux actions de formation continue développées par l'AFEF par exemple, par des réunions régionales animées par des experts, et la mise à disposition de documents présentant les guidelines de l'EASL.

Par ailleurs, Intercept assure le soutien institutionnel des Journées CBP, pour les patients et leur entourage, organisées par le Centre de Compétence MIVB-HAI, la Filière FILFOIE et l'association albi. L'apport de solutions thérapeutiques et de soutiens divers aux patients est fondamental pour Intercept, ce qui se traduit par la mise à disposition aux patients par leurs médecins de livrets sur la maladie et ses symptômes, et le programme Practice to Policy.

Practice to Policy est un programme européen et canadien destiné à soutenir des initiatives visant à améliorer la prise en charge des patients atteints de CBP. Lancé depuis 2016, Practice to Policy finance des projets soumis par des Professionnels de santé, des Associations de Patients, des Institutionnels. Ces projets sont analysés par un jury composé de représentants des patients, de médecins, et des collaborateurs d'Intercept. Les lauréats reçoivent un soutien financier pour mener à bien leur projet.

Depuis 2016, 4 projets français se sont vu attribuer le programme P2P :

- L'équipe du Pr Dominique Larrey (CHU Montpellier) avec une étude pilote d'éducation thérapeutique dans la CBP
- Projet d'atelier autour de la fatigue du réseau REVHEPAT avec le Dr Nathalie Boyer (Hôpital Beaujon)
- Projet albi qui vise à créer des vidéos disponibles sur leur site internet pour mieux informer les patients de leur maladie
- Projet CHU Grenoble (dont l'objectif est de mettre en place des moyens pour mieux accompagner les patients qui habitent loin de leur hôpital)