

BETEGTÁJÉKOZTATÓ

A PRIMER SZKLEROTIZÁLÓ KOLANGITISZRŐL (PSC)

A hivatalos
felülvizsgáló
és jóváhagyó az



A fordítást készítette:

DE-Liver Hepatológiai Kutatócsoport

Kapcsolattartó:

Prof. Dr. Papp Mária
MTA doktor, egyetemi tanár
papp.maria@med.unideb.hu

Debreceni Egyetem
Klinikai Központ
ERN RARE-LIVER Teljes Jogú Centrum

Debreceni Egyetem
Általános Orvostudományi Kar
Gasztroenterológiai Tanszék

4032 Debrecen, Nagyerdei krt. 98.

ÁLTALÁNOS TÁJÉKOZTATÓ AZ EURÓPAI REFERENCIAHÁLÓZATOKRÓL (ERN), AZON BELÜL A RITKA MÁJBETEGSÉGEK EURÓPAI REFERENCIAHÁLÓZATÁNAK (ERN RARE-LIVER) FELÉPÍTÉSÉRŐL ÉS TEVÉKENYSÉGÉRŐL

Mi az Európai Referenciahálózat és mik az általános célkitűzései?

Európában 30 millió embert érint a több, mint 6 ezer ritka vagy összetett betegség valamelyike. Az esetek nagy részében azonban a betegségek ritka előfordulásából kifolyólag nem áll rendelkezésre specializált, magas szintű szaktudás és kezelési lehetőség a beteg lakhelyének közelében. Az Európai Unió és tagállamai ezért az orvosokkal és betegszervezetekkel összefogva 2017-ben létrehozták az Európai Referenciahálózatokat (ERN) a ritka betegségek hatékonyabb és magas minőségű ellátásának céljából. Ezek a hálózatok olyan virtuális munkacsoportok, amelyek az Európa Unió teljes területéről összegyűjtik a szakmai tudást, és azt az egészség-

ügy valamennyi szereplője számára elérhetővé teszik. Az Európai Referenciahálózatok segítséget nyújtanak az orvosoknak az Ön, és az Önhöz hasonló betegségben szenvedők esetén a kórfolyamat diagnosztizálásában és a megfelelő kezelési terv kidolgozásában. Orvosa igénybe veheti a megfelelő szakterületű hálózat segítségét ahhoz, hogy a jelenleg elérhető legmagasabb szakmai szintű tanáccsal és támogatással lássa el Önt. Az ismeretek megosztásával tovább javítható az ellátás színvonala/minősége, így a betegek jobb ellátáshoz juthatnak, és javulhat az életminőségük.

Hogyan vesznek részt a magyarországi intézmények az Európai Referenciahálózatok tevékenységében?

Az Európai Referenciahálózatban 300 egészségügyi intézmény 900 orvosi munkacsoportja osztja meg egymással szakmai tudását a ritka vagy alacsony előfordulási gyakoriságú betegségek hatékony kezelésének érdekében. A 24 tematikus referenciahálózat 26 ország magas

színvonalú ellátást nyújtó szolgáltatóját kapcsolja össze. Magyarországról a Semmelweis Egyetem 6 klinikája, a Debreceni Egyetem, a Pécsi Tudományegyetem és a Szegedi Tudományegyetem 2-2 klinikája vált az Európai Referenciahálózat tagjává.

Mivel foglalkozik a Ritka Májbetegségek Európai Referenciahálózata (ERN RARE-LIVER) és hogyan lehet az orvosok és betegek segítségére?

A Ritka Májbetegségek Európai Referenciahálózata a 24 tematikus hálózat közül az a munkacsoport, amelyik specifikusan a ritka májbetegségben szenvedő betegek gyógyításával foglalkozik. Ide tartoznak a gyermek-, és felnőttkori autoimmun májbetegségek, mint az autoimmun hepatitisz (AIH), a primér biliáris kolangitisz (PBC)

vagy a primér szklerotizáló kolangitisz (PSC), a különféle metabolikus májbetegségek, a biliáris atrézia és az ehhez kapcsolódó kórképek, a különböző strukturális májbetegségek, az akut májelégtelenség, valamint a terhesség alatt fellépő ritka májbetegségek.

KEDVES AUTOIMMUN MÁJBETEGÜNK!

A Debreceni Egyetem Klinikai Központjában a Belgyógyászati Intézet Gasztroenterológiai Tanszékén átlagosan évente 230-240 autoimmun májbetegget látunk el és 30-35 új betegség kerül felfedezésre. Ezúton örömmel értesítjük Önt arról, hogy a 2019 márciusában bennünket az országból első és eddig egyetlen centrumként az ERN RARE-LIVER hálózat társult tagjává fogadtak. Az ERN RARE-LIVER Program orvosszakmai koordinátora Prof. Dr. Papp Mária egyetemi tanár, helyettes koordinátora Prof. Dr. Tornai István.

Az ERN Ritka Májbetegségek Program keretein belül az autoimmun májbetegségben szenvedő betegeink számára egy betegközpontú, személyre szabott, magas színvonalú gondozási programot dolgoztunk ki és vezetünk be. Ennek keretein belül a kivizsgálás, az ellátás és az utánkövetés színvonalát egységesítjük és javítjuk. Célunk, hogy a magyar betegek gyógyulása esetén is el tudjuk érni a legjobb európai májbetegcentrumok eredményességét. A fennálló májbetegség kezelése mellett fokozott figyelmet fordítunk a társuló egyéb tünetekre és betegségekre, hogy ezáltal az Ön egészségének és életminőségének további javulását tudjuk elérni.

Az ERN Ritka Májbetegségek Program keretein belül céljaink megvalósítására az alábbi eszközök állnak rendelkezésünkre:

1. Betegtájékoztatók

Az ERN RARE-LIVER hálózattal és az Európai Májkutató Társasággal (EASL) közösen betegtájékoztatókat dolgoztunk/ dolgozunk ki, mely lehetőséget nyújt Önnek arra, hogy saját betegségét, annak lefolyását és kezelési lehetőségeit pontosabban megértse. Amennyiben Ön autoimmun hepatitiszben (AIH) vagy primér biliáris kolangitiszben (PBC) szenved, a magyar nyelvű betegtájékoztató már elérhető, és ezt postai úton vagy elektronikus formában (emailben) az Ön rendelkezésére bocsájtjuk. A betegtájékoztató tartalmának megismerését követően amennyiben kérdése van, örömmel válaszolunk, akár a reguláris betegevizit alkalmával vagy azon kívül is egy előre egyeztetett időpontban. Primér szklerotizáló kolangitisz (PSC) betegeink számára is hamarosan elérhető lesz egy betegtájékoztató dokumentum.

2. Rendszeres kapcsolattartás

Jelenlegi kezelőorvosával egyeztetve a reguláris kontrollok mellett telefonon és emailben is fogunk Önnel kapcsolatot tartani (Prof. Dr. Papp Mária egyetemi tanár és Dr. Sipeki Nóra szakorvos). Ennek az a célja, hogy az Ön betegségének és jelenlegi állapotának megfelelően a szükséges anamnézis felvétel, laboratóriumi és képalkotó vizsgálatok minél hatékonyabban kerülhessen megszervezésre, egyrészt rövidítve a várakozási időt, másrészt az időpontokat az Ön elfoglaltságaihoz igazítva. Ugyanakkor, ezáltal Önnek is lehetősége van arra, hogy minket soron kívül elérjen, amennyiben erre szüksége van.

3. Virtuális konzíliumok lebonyolítása – Klinikai Betegadat Kezelő Rendszer (CPMS)

A CPMS egy olyan innovatív informatikai felület, amely virtuális konzíliumok lebonyolítását teszi lehetővé. A sikeres kommunikációt szolgálja azáltal, hogy megkönnyíti a különböző székhelyű és szakterületű orvosok elérését a ritka májbetegségben szenvedő betegeket kezelő szakorvosok számára. A konzultációra meghívott szakértők a magyar és európai adatvédelmi szabályok (GDPR) szerinti módon hozzáférést kapnak a betegek releváns, anonimizált adataihoz és eredményeihez (laboratóriumi, szövettani és képalkotó vizsgálati eredmények). Ezek áttekintése után megvitatják az esetet és döntés születik a diagnózisról, valamint a legmegfelelőbb kezelési tervről, de további vizsgálatok elvégzését is javasolhatják, azonban a végső döntés továbbra is az Ön és kezelőorvosa kezében van. Ezzel segíteni tudják a mielőbbi pontos diagnózis felállítását és a megfelelő kezelési terv kidolgozását. A CPMS rendszeren keresztül bonyolított távkonzultációk rendkívül nagy segítséget jelentenek a klinikai gyakorlatban, lebonyolításukhoz azonban az Ön írásbeli beleegyezése szükséges. Amennyiben az Ön esetén CPMS konzultációt tervezünk az ezzel kapcsolatos betegtájékoztató/ és betegbeleegyező nyilatkozatot mellékeljük, és ha lezárult, annak eredményéről egy magyar nyelvű összefoglalót az Ön rendelkezésére bocsájtunk.

4. Ritka májbetegségek regiszter (R-Liver Regiszter)

Az ERN RARE-LIVER hálózat 2019-ben bevezetett egy betegnyilvántartási rendszert, mely teljes mértékben anonim módon, összhangban a magyar és az európai adatvédelmi szabályokkal lehetővé teszi a kezelőorvosok

számára a betegek klinikai, laboratóriumi, szövettani és képalkotó adatainak rögzítését a betegség felismerésekor, majd ezt követően rendszeresen. A regiszter az orvostudomány területén egy nagyon fontos, megfigyelésen alapuló vizsgálati módszer. Ez az „online betegnyilvántartás” mind a betegek, mind a kezelőorvosok/egészségügy számára előnyös. Egyrészt ezáltal nyomon követhetővé és értékelhetővé válik a betegellátás során előre meghatározott minőségi célok megvalósulása, így segíti a betegellátás minőségének további javulását. Másrészt, mivel ritka ezen betegségek előfordulása, az egyes centrumoknak önállóan sokkal tovább tartana a betegség felismerésének és kezelésének fejlesztéséhez szükséges tapasztalat és tudás összegyűjtése, az „online betegnyilvántartás” azonban biztosítja az „összeadott tudás” kialakulását az autoimmun májbetegségek klinikai kórlefordulásáról és a kezelések hatékonyságáról, lehetővé téve ezáltal a jövőbeni fejlődést és jobb segítségnyújtást. Az R-Liver Regiszterhez való csatlakozást az ETT TUKEB engedélyezte (10290-2/2019/EKU, 10290-8/2019/EKU). Az adatgyűjtésében való részvétel önkéntes, és az Ön írásbeli beleegyezése szükséges hozzá. Az ezzel kapcsolatos betegtájékoztatót/ és betegbeleegyező nyilatkozatot mellékeljük.

5. Életminőség vizsgálat

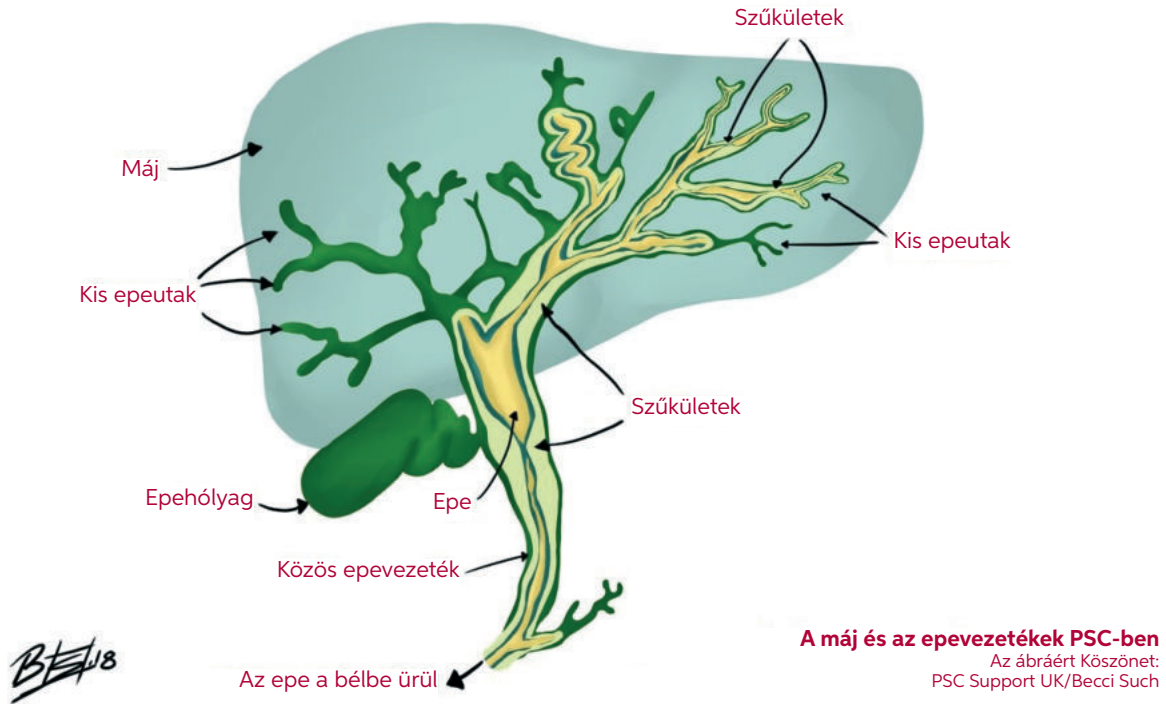
Miért is fontos a ritka májbetegségben szenvedő betegek életminőségének vizsgálata, és hogyan történik az erre vonatkozó felmérés? Az egészséggel kapcsolatos életminőség vizsgálata azonban eddig nem kapott különösebb klinikai figyelmet a ritka májbetegségben szenvedő betegek gondozása során. A mindennapi klinikai tapasztalatok azonban egyértelműen azt mutatják, hogy a májbetegségben szenvedő egyének súlyos tünetekkel küzdenek, melyek jelentősen kihatnak az általános közérzetükre. A különböző betegcsoportok kezelésében alkalmazott gyógyszerek, úgymint a kortikoszteroidok (pl. a prednisolon hatóanyagú Prednisolon-Richter®, illetve methyl-prednisolon hatóanyagú Medrol®, illetve Metypred®) és a leggyakrabban alkalmazott immunszuppresszív készítmény, az azatioprin (Imuran®), jelentős mellékhatásokkal járhatnak. Ideális esetben, jól működő orvos-beteg kapcsolat esetén, ezeket a panaszokat a betegek meg tudják beszélni kezelőorvosukkal. Dózistitrálással, illetve terápiamódosítással a mellékhatások ugyanis uralhatóvá válhatnak, elfogadható életminőség érhető el. Amennyiben ez nem így történik - orvosi egyeztetés nélkül elhagyásra kerülnek fontos gyógyszerek - akkor az autoimmun májbetegség kóros folyamatai kerülnek előtérbe, melynek előrehaladása jelentősen befolyásolhatja (ronthatja) a betegek életkilátásait. Mivel a krónikus végstádiumú májbetegség (májzsugor) kialakulásáig vezető út tünetmentes is lehet, így erre előfordulhat, hogy már csak akkor derül fény, amikor súlyos szövődmények lépnek fel, melyek nehezen kezelhetők és májtranszplantáció válik szükségessé. Ezért tartjuk kiemelten fontosnak betegeink életminőségének követését. Egy nemzetközi vizsgálat keretében gondozott betegeinknek lehetőségük van részt venni egy komplex életminőség felmérésben. A betegek állapotát különböző, minősített kérdőíveket alkalmazva mérjük fel. A felmérést az ETT TUKEB engedélyezte (IV/5977-2/2020/EKU). Az adatgyűjtésében való részvétel önkéntes, és Ön írásbeli beleegyezése szükséges hozzá. Az ezzel kapcsolatos betegtájékoztatót/ és betegbeleegyező nyilatkozatot mellékeljük. Az életminőség felmérésben részt vevő betegek számára lehetőséget biztosítunk a kérdőív-eredmények megbeszélésére és szükség esetén a lelki segítségnyújtás igénybevételére.

TÁJÉKOZTATÓ A PRIMER SZKLEROTIZÁLÓ KOLANGITISZRÓL (PSC)

Mi az a PSC?

A PSC egy ritka, immunmediált májbetegség, amely az epeutak gyulladásának (kolangitisz) következtében hegesedéshez (szklerózishoz) vezet. Ez azt jelenti, hogy az epe, amely normál körülmények között az epevezeték

teken keresztül a belekbe áramlik, nem tud megfelelően elfolyani, és felhalmozódik a májban. Ez egyes embereknél fertőzéshez és további májkárosodáshoz vezethet. **(1. ábra)**



1. ábra – A máj és epevezeték PSC-ben Az epevezeték apró csövek, amelyek az epét a májból a bélbe vezetik. Az epevezetékűket úgy lehet elképzelni, mint egy faág szerűen kapcsolódó csőrendszert, amelyben az epe a fa tetején elhelyezkedő legkisebb epevezetékéből (gallyak) a nagy epeutakon (ágak) és végül a törzsön (közös epevezeték) keresztül folyik lefelé. PSC-ben az immunrendszer „megtámadja” az epevezetékűket, ami a csatornák megkeményedését és beszűkülését okozza. Szűkületek mind a kis, mind a nagy epeutakon kialakulhatnak PSC-ben, ami megnehezíti az epe zavartalan elfolyását.

Kit érint?

A PSC bármilyen életkorban jelentkezhet. Leggyakrabban 30-50 év között diagnosztizálják, de a gyermekek is érintettek lehetnek. Valamivel több férfit érint, mint nőt. A legtöbb PSC-ben szenvedő személy más immunmediált betegség(ek)ben, jellemzően gyulladásos bélbetegségben (IBD [inflammatory bowel disease]) is szenved.

Miért van PSC-m?

A PSC egy bonyolult betegség, és nem teljesen értjük, mi okozza. A jelenlegi bizonyítékok azt sugallják, hogy adott genetikai felépítésű emberek fogékonyak lehetnek bizonyos környezeti tényezőkre, melyek hatására immunrendszerük lényegében „megtámadja” az epevezetékűket. Még nem tudjuk, mik ezek a kiváltó okok, de elképzelhető, hogy bizonyos baktériumok vagy vírusok. **(2. ábra)**

Hogyan diagnosztizálják a PSC-t?

A PSC-t nem könnyű diagnosztizálni. A diagnózis gyakran egy váratlan lelet következtében történik, például mikor az IBD követése során végzett rutinszerű vérvizsgálat az epevezeték sérülését sugallja. Máskor hosszantartó általános fáradtság vagy rossz közérzet okának keresése közben figyelnek fel rá, esetleg a páciens már a májbetegség jeleit is mutathatja, például viszketés vagy a szem/bőr sárgás elszíneződése.

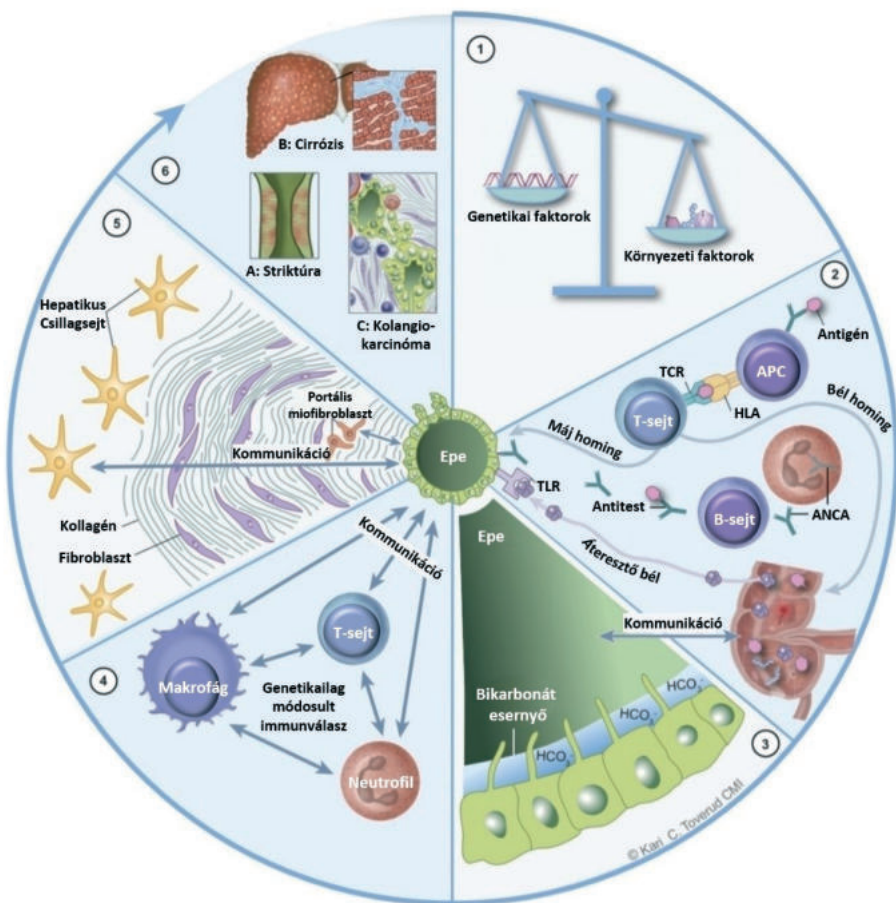
Ha orvosa a PSC-re gyanakszik, akkor egy MRCP-nek nevezett mágneses rezonancia-vizsgálat elvégzését fogja javasolni, amely képes az epevezetékűk állapotának megítélésére.

Ha az MRCP a PSC tipikus megjelenését mutatja, invazív tesztekre ritkán van szükség. Időnként azonban biopsziát vesznek, ha más állapotok, köztük autoimmun hepatitis társulásának gyanúja merül fel. Endoszkópos kolangiográfiára (ERCP) csak ritka esetekben van szükség a diagnózis felállításához.

Mit tehet az orvosom?

Bár jelenleg nincs olyan terápia, mely képes lenne meggyógyítani a PSC-t, a jelenlegi klinikai gyakorlati irányelvek segítségével orvosa segíthet a tünetek kezelésében. Ez magába foglalja a viszketés elleni gyógyszereket, a fertőzések kezelésére szolgáló antibiotikumokat és bizonyos kiegészítő vitaminokat.

Néhány PSC-ben szenvedő ember alacsony dózisban (15-20 mg/testtömeg-kilogramm/nap) ursodeoxikolsavat (UDCA) szed. Az UDCA javítja a vérvizsgálatokkal mért májparamétereket, és segíthet az epe áramlásának javításában, de nincs tudományos bizonyítékunk arra, hogy késleltetné a PSC progresszióját.



APC: Antigen prezentáló sejt, HCO₃⁻: Bikarbonát, HLA: Humán Leukocita Antigen, TCR: T-sejt receptor, TLR: Toll-szerű receptor

2. ábra – A PSC kialakulásában és megjelenésében szerepet játszó tényezők

- 1 Genetikai hajlam és környezeti tényezők
- 2 A bélben aktiválódott immunsejtek megjelennek a májban is
- 3 A toxikus epeösszetevőkkel szembeni védelemmechanizmusok elvesztése
- 4 Az immunrendszer megváltozott aktivitása gyulladást idéz elő az epeutak körül
- 5 Az epevezeték sejtjeinek sérülése hegesedéshez vezet
- 6 Szövődmények, például az epevezeték szűkületei, a fibrotikus szövetek felhalmozódása (cirrózis) és a rák kockázatának fokozódása.

Köszönet Tom Hemming Karlsen Professzornak (Osloói Egyetemi Kórház), hogy engedélyezte a grafika reprodukálását.

A PSC-ben szenvedő emberek fokozott kockázatnak vannak kitéve egyes rákos megbetegedésekkel szemben. Kezelőorvosának ezért szorosan figyelemmel kell követnie és rendszeresen ellenőriznie kell Önt.

A PSC terápiájára szolgáló új gyógyszerek jelenleg is tesztelés alatt állnak. Orvosa felvilágosítást adhat Önnek a különböző kutatásokban való részvételről, hogy így Ön is hozzáférhessen a potenciális új gyógyszerekhez.

Milyen teszteken vagy vizsgálatokon kell részt vennem?

6-12 havonta **ultrahang vizsgálat** a máj, az epevezetékek és az epehólyag alakjának ellenőrzésére. A diagnóziskor **kolonoszkópia** segítségével megvizsgálják, hogy van-e egyidejűleg fennálló IBD-je, még akkor is, ha nincsenek tünetei. Ha fény derül IBD jelenlétére, évenkénti kolonoszkópiás ellenőrző vizsgálatokat fognak végezni.

Csontsűrűség-vizsgálat a csontok állapotának ellenőrzésére, mivel a PSC az osteoporózis fokozott kockázattal jár.

A beszűkült epevezetékek fizikális kiszélesítése és az epe áramlásának elősegítése érdekében **endoszkópos kezelés (ERCP)** is szükségessé válhat.

Rendszeres **vérvizsgálat** a májenzimek ellenőrzésére. Évenként javasolt **májtömöttség vizsgálat** (Shear wave elasztográfia, FibroScan®) a máj hegesedésének követésére. Az epeutak **MR vizsgálata (MRCP)**, ha új tünetei jelentkeznek vagy tüneteiben, illetve a többi vizsgálat eredményében változás következik be.

Szükségem van egy speciális étrendre?

A PSC nem igényel különleges étrendet. Egészséges, kiegyensúlyozott táplálkozás javasolt. Kizárólag olyan

kiegészítőket fogyasszon, amikről kikérte orvosa véleményét.

Ihatok alkoholt?

A PSC kialakulása nem függ az alkoholfogyasztástól, azonban javasolt, hogy ha PSC-je van, ne fogyasszon alkoholt, mivel súlyosbíthatja a már meglévő májkárosodást. Kezelőorvosa el fogja látni a betegség súlyosságától és az Ön általános egészségi állapotától függő személyre szabott tanácsokkal.

Dohányozhatok?

Erősen ajánlott, hogy ne dohányozzon. A dohányzás káros az egészségre, még alacsony fogyasztás esetén is.

Lehet családom?

Általánosságban azt mondhatjuk, hogy amennyiben a májbetegsége nincs előrehaladott állapotban, a terhességi szövődmények kockázata nem különbözik az egészséges személyekétől. Mindenképpen beszéljen orvosával, ha családot tervez, különösen, ha májcirrózisban szenved.

Mi fog történni velem?

Fontos megjegyezni, hogy a PSC egyéni változatosságot mutat.

Sok PSC-ben szenvedő ember él normális életet. Másoknak olyan tünetekkel kell együtt élniük, mint a fáradtság, viszketés vagy hasi fájdalom, és egyeseknél, de nem mindenkinél, előrehaladott májbetegség alakul ki. Ezeknek a betegeknek májtranszplantációra is szükségük lehet.

Ha állapotának hirtelen változását észleli, mindenképpen tájékoztassa erről kezelőorvosát.

AKUT KOLANGITISZ

Mi az az akut kolangitisz?

Akut kolangitisz (más néven „bakteriális kolangitisz” vagy „kolangitiszes roham”) előfordulhat a PSC-ben szenvedő személyeknél, még azoknál is, akiknek egyébként jó a májfunkciója. A pontos ok nem ismert, de úgy gondolják, hogy a szűkületek megkönnyítik a baktériumok megtapadását az epeutakban, ami fertőzés kialakulásához vezet. Az akut kolangitiszes roham nem jelenti azt, hogy maga a PSC rosszabbodik.

Kolangitiszes rohamom van?

A PSC-s betegeknél esetenként előfordulhat az epevezetékek bakteriális fertőzése (akut kolangitisz), amely sürgős orvosi ellátást igényel. A roham a tünetek széles skálájával jelentkezhet, míg a fertőzés klasszikus jellemzői hiányozhatnak. Ez azt jelenti, hogy az akut kolangitist nem könnyű felismerni.

A jelek és tünetek egyéni változatosságot mutathatnak, és nem kizárólagos módon a következőket foglalhatják magukba:

- új vagy súlyosbodó fájdalom a has jobb felső részén
- csökkent étvágy/hányinger
- új vagy súlyosbodó viszketés (különösen a tenyéren vagy a talpon)
- sárgaság (a bőr és/vagy a szemfehérje sárgás elszíneződése) *
- láz, borzongás, hidegrázás *
- magas testhőmérséklet*
- a vizelet sötétedése *
- világos színű széklet *
- a máj paraméterek laboratóriumi vizsgálati eredményeinek hirtelen változása *

* ezen jelek vagy tünetek bármelyike súlyos kolangitiszes rohamra utalhat

Szükségem van orvosi ellátásra?

Igen. Amennyiben kolangitiszes rohama van, sürgős orvosi ellátásra van szüksége. Gyanú esetén forduljon háziorvosához vagy a sürgősségi orvosi ügyelethez. A kezelés akkor is szükséges lehet, ha nincsenek súlyos tünetei.

HA KÉTSÉGEI VANNAK, KÉRJEN ORVOSI SEGÍTSÉGET

Ha a súlyos kolangitisz alábbi jelei vagy tünetei jelentkeznek, azt javasoljuk, hogy haladéktalanul vegye fel a kapcsolatot a helyi sürgősségi osztállyal:

- hirtelen fellépő sárgaság
- súlyos fájdalom a has jobb felső részén
- kezelhetetlen láz (például nem kontrollálható paracetamollal)
- mellkasi fájdalom
- eszméletvesztés

Ha súlyos kolangitiszben szenved, előfordulhat, hogy Ön kórházi kezelésre és ellenőrzésre szorul. Fontos az azonnali antibiotikum-terápia, amelyet orvosának kell irányítania, figyelembe véve a betegség súlyosságát, a helyi antibiotikumokkal szembeni rezisztenciát és a lehetséges mellékhatásokat.

Következő lépések

Javasoljuk, hogy gondoskodjon arról, hogy kezelőorvosa a lehető leghamarabb értesüljön az ön kolangitiszes rohamáról. Az ön állapotát egyedi értékelésnek fogják alávetni, és bizonyos esetekben az MRI-vizsgálatot vagy az endoszkópiát is mérlegelhetik az epeutak kivizsgálása és/vagy kitisztításának elősegítése érdekében.

Oltások

A Hepatitis A és B (vírusok), valamint a pneumococcus (egy fajta baktérium) fertőzések elleni védőoltások ajánlottak. Javasoljuk azt is, hogy minden év őszén a lehető legkorábban oltsa be magát influenza ellen.

Hogy található PSC specialistát?

A PSC egy bonyolult kórkép, amely minden egyes embert másképp érint. Ideális esetben az Ön gondozását a PSC kezelésében tapasztalattal vagy az iránt érdeklődéssel

rendelkező orvosnak vagy kórházi hálózatnak kell végeznie. A PSC ritka betegség, így nem minden orvosnak van tapasztalata a kezelésében. Néhány kórház azonban része a ritka májbetegségek európai hálózatának, a RARE-LIVER ERN-nek. Ez azt jelenti, hogy a hálózat kórházaiban látott betegek kezeléséhez a hálózat más kórházaiban dolgozó szakemberek szakértelmét is igénybe veszik. Ha többet szeretne tudni a RARE-LIVER ERN-ről, kattintson az oldal tetején található linkre.

Kutatás

Európában számos, a PSC terápiájára potenciálisan alkalmas eljárást tesztelnek klinikai vizsgálatok során. Ha szeretne többet megtudni, és kideríteni, hogy alkalmas-e (jogosult-e) a részvételre, beszéljen kezelőorvosával vagy látogasson el a Clinicaltrials.gov webhelyre, és keressen rá a “primary sclerosing cholangitis” kifejezésre. Ott talál egy interaktív térképet, amely az önkénteseket toborzó kutatási kísérletek központjait jelöli meg.

TÁJÉKOZTATÁS RITKA MÁJBETEGSÉGGEL ÉLŐ BETEGEINK SZÁMÁRA

(ILLETVE, KISKORÚAK ESETÉN, SZÜLEIK SZÁMÁRA)

A koronavírus nem csupán a médiában tört uralomra, hanem egyre inkább befészkelte magát a májbetegek tudatába is, akik sebezhetőségük miatt aggódnak. Ezért, az elkövetkező hetekre, hónapokra vonatkozóan, szeretnék megosztani Önökkel néhány információt és ajánlást.

Nemcsak mint a Ritka Májbetegségek Európai Hálózatának (ERN RARE-LIVER) vezetője fordulok Önökhöz, hanem hepatológusként és fertőző betegségek szakértőjeként is. A tudományos társadalom nagyon keveset tud erről a betegségről; hogyan boldoguljunk egy új vírussal, egy új betegséggel? Ugyanakkor a jelen tapasztalatainkra már tudunk alapozni néhány fontos javaslatot.

Az első és legfontosabb:

Folytassa immunszuppresszív gyógyszerjeinek szedését az orvosa által előírtak szerint!

Májbetegként ne változtasson a kezelésen, és ne csökkentse a gyógyszeradagolást! Az már most egyértelmű, hogy veszélyesebb változtatni a terápián, mint változtatás nélkül tovább folytatni. Sokkal veszélyesebb az autoimmun májbetegség fellángolása vagy a transzplantált szerv kilökődése!

Igen, veszély van, de ez a veszély jóval kisebb, mint azt a híreket nézve gondolnánk, s különösképpen a májbetegek, illetve immunszupprimált betegek számára jóval kisebb, mint gondolnánk. Miért mondom ezt? Mostanra számos adattal rendelkezünk, elsősorban Kínából és Olaszországból, de egyéb területekről is, melyek valódi bátorítást és megnyugtatót adnak számunkra. Ezekből az adatokból az alábbiakra következtethetünk:

- **A halálozási arány alacsonyabb a jelentettnél, mivel sokkal több nem diagnosztizált eset fordul elő, mint amit a hivatalos adatok tartalmaznak.**
- **Valóban nagyon csekély annak a kockázata, hogy a fertőzöttek, különös tekintettel a gyermekekre és a fiatal felnőttekre, súlyosan megbetegedjenek.**
- **Nem tűnik magasabbnak a kockázat azon betegek körében sem, akik immunszupprimáltak vagy májátültetésben részesültek.**

Kik a valóban veszélyeztetettek?

- Az idősek, különösképp az idős férfiak
- Krónikus légúti megbetegedésben szenvedő betegek, például az asztmások
- és feltehetőleg a cukorbetegek

Ha Ön a veszélyeztetett csoportba tartozik és/vagy idős ember (70 év feletti), akkor legyen különösen óvatos, szigorúan kerülje a kontaktust olyan emberrel, akinek légzőszervi fertőzésre utaló tünetei vannak, csökkentse a közvetlen társas kapcsolatait, kerülje a közvetlen fizikai kontaktust, minden alkalommal mosson kezet, ha nyilvános helyen járt, vagy megérintett

olyan tárgyakat, amiket Ön előtt mások megfoghattak. Természetesen kövesse a nemzeti és területi szabályozásokat és ajánlásokat, melyek a helyi járványügyi helyzettől függően eltérőek lehetnek, és amelyek olykor nagyon gyorsan változnak.

Mi az, amit tudunk?

A SARS-CoV2-nek nevezett új vírus a SARS (súlyos akut légzőszervi szindróma) vírus egy variánsa, új is, de mégsem teljesen új. Más koronavírusok évek óta jelen vannak körülöttünk, általában enyhe légzőszervi fertőzéseket okozva, de mind a SARS, mind a MERS vírus (közel-keleti légzőszervi szindróma) súlyos járványokat okozott az elmúlt években. Miért van ez az óriási aggodalom és felhajtás az új vírus körül? Két fő okból:

- Mint már említettem, nagyon keveset tudunk a vírusról, hogyan reagálunk rá, hogyan reagálnak mások.
- Feltehetőleg nincs a vírussal szemben immunitás a népességünkben, hiszen új vírusról van szó.

Az utolsó pont az, ami magyarázatot ad arra, miért terjed a vírus szerte a világban, s emiatt olyan nehéz lassítani a vírus terjedését, megállítani pedig szinte lehetetlen. A szakértők többsége egyetért abban, hogy a vírus velünk marad, s még ha sikerül is lelassítani a terjedést, akkor is a közösségben marad, és újra és újra visszatérhet. Lehet, hogy tévedünk, és sikerül elérni, hogy végleg eltűnjön, ahogyan azt minden bizonnyal a SARS esetében is sikerült elérni, de ez kevésbé valószínű. Éppen ezért, számunkra és Önök számára is fontos, hogy tudjuk, hogyan kezeljük ezt az új helyzetet.

Hogyan tudja óvni magát?

Valójában az már most nyilvánvaló, hogy sokkal veszélyesebb a terápiás gyógyszeradagolás csökkentése, mint annak változatlan folytatása. Az autoimmun májbetegség fellángolása vagy a transzplantált szerv kilökődése sokkal nagyobb valószínűséggel vezet súlyos betegséghez vagy akár halálhoz, mint maga az új vírus. Ezért, kérjük, szedje a gyógyszerjeit továbbra is! Az is elképzelhető, hogy az immunszupprimált betegek betegséglefolyása a gyógyszerek miatt enyhébb lehet, de ezek nem tények, csupán feltételezések, s nekünk a tényeknél kell maradnunk. S van még egy fontos dolog: a betegség fellángolása vagy a transzplantált szerv kilökődés önmagában további egészségügyi kockázatot jelent, amely még inkább sebezhetővé teszi Önt – ezért kérjük, kerülje el ezt!

Mit tud tenni, hogy védje magát? Sok beteg érdeklődik, hogyan tudná erősíteni az immunrendszerét, vitaminokkal, cinkkel, gyógynövénytartalmú készítményekkel stb. Attól tartok, ezek nem érnek semmit. Az egészséges életmód azonban most is legalább annyira fontos, mint máskor: próbáljon friss levegőt szívni és tornázni minden nap – még a karanténban lévő emberek is sétálhatnak, csak kerülniük

kell, minden közeli kontaktust. Étkezzen rendszeresen, az ajánlásoknak megfelelően kövessen változatos étrendet – próbáljon meg ne mindig a vírusra és az azzal járó kockázatra gondolni, élje az életét, már amennyire a szabályozások lehetővé teszik. Az Önök többségére nézve a vírus okozta kockázat nagyon nagyon alacsony – sőt Önök közül sokuk folytat olyan életmódot, amely ettől sokkal nagyobb kockázattal jár.

Üdvözlettel:
Ansgar W. Lohse
a Ritka Májbetegségek Európai Referenciahálózatának (ERN RARE-LIVER) elnöke

Prof. Dr. Papp Mária
egyetemi tanár
Debreceni Egyetem, Klinikai Központ

TÁJÉKOZTATÓ A COVID-19 ELLENI OLTÁSRÓL AUTOIMMUN MÁJBETEGEK SZÁMÁRA

A ritka májbetegségben szenvedő betegek COVID-19 (koronavírus) fertőzés elleni oltása kifejezetten ajánlott!

Ebbe a betegcsoportba soroljuk a dekompenzált májbetegségben, ritka májbetegségben (PBC, PSC, AIH, vaszkuláris májbetegségek) szenvedő betegeket, valamint a májtranszplantációra váró és májtranszplantáción átesett betegeket is.

Az eddigi adatok alapján az oltás biztonságos. Ha aggódik vagy bizonytalan, forduljon orvosához!

A koronavírus járvány óriási hatást gyakorolt mindannyiunkra, beleértve a betegeket, orvosokat és más egészségügyi dolgozókat, sőt a társadalmunkat általánosságban is jelentősen befolyásolta. Megkönnyebbülésünkre a legtöbb bizonyíték arra utal, hogy a ritka májbetegségben szenvedő betegek nincsenek nagyobb veszélynek kitéve a megfertőződéskor, sem a súlyos szövődmények kialakulásának sem pedig a halálozás tekintetében. Ugy tűnik, hogy a ritka májbetegségben szenvedő betegeket érintő kockázat megegyezik az általános lakossági kockázattal. Korábban az ERN RARE-LIVER már kiadott egy tájékoztatást a betegek és az orvosok számára arról, hogy nem kell változtatni a jól beállított kezeléseken, többek közt az immunsuppresszív terápian sem. Az azóta összegyűjtött ismeretek alapján szeretnénk megerősíteni ezt a javaslatot. A hamarosan érkező COVID-19 oltás kapcsán azonban új kérdések merültek fel.

Ebben a tájékoztatóban szeretnénk egyértelmű iránymutatást adni az oltással kapcsolatban. Ritka májbeteggekkel foglalkozó orvosokként és kutatókként nagyon reméljük, hogy Önnek lesz lehetősége az oltás beadatására, és meg fogja ragadni ezt az esélyt! Az oltóanyagok elérhetősége az elkövetkező hónapokban előreláthatólag fel fog gyorsulni és ez valódi esélyt kínál a járvány mihamarabbi lezárására.

Annak ellenére, hogy a vakcinák kifejlesztésére szolgáló mRNS-technológia újdonság az emberi vakcinák gyártásában, rengeteg háttérismeret áll rendelkezésre erről a technológiáról, és az állati vakcinákkal szerzett tapasztalatok azt mutatják, hogy ez egy elegáns új módszer, amely a klasszikus oltásokhoz képest gyorsabb fejlesztést és előállítását tesz lehetővé. Ezeknek az oltásoknak a hátránya, hogy kétszer kell beadni (a másodikat három-négy héttel az első oltás után), és a szállításuk különleges hűtési követelményekkel jár. Ezeknek az oltásoknak a mellékhatásai

nagyon hasonlítanak a más oltásoknál (mint pl. influenza) tapasztalt átmeneti mellékhatásokhoz. A tünetek közé tarthat a beadás helyén kialakuló reakciók (mint pl. felkar néhány napos fájdalma), fáradtság, fejfájás, hőemelkedés, és ritkán akár láz is előfordulhat, amely egy-három napig tarthat. Mint minden oltóanyag esetében, egyes esetekben itt is beszámoltak allergiás reakcióról, de ezek csak erős allergiás hajlamú betegekre korlátozódtak - ami egészen más, mint az autoimmun betegség. Ennek ellenére, az oltásokat a bevett gyakorlatnak megfelelően, megfelelő orvosi felügyelet mellett ajánlott elvégezni. Sajnos az oltásokat még nem tesztelték, és így nem engedélyezték gyermekek számára. Ezért a gyermekek oltását a rendelkezésre álló korlátozott bizonyítékok alapján gondosan mérlegelni kell a gyermekorvosokkal. Tekintettel a gyermekek COVID-19 fertőzésének nagyon alacsony kockázatára, sok esetben az oltást biztonságosan el lehet halasztani.

Fontos megjegyezni, hogy ezek nem élő vírust tartalmazó oltások, ezért biztonságosak az immunsuppresszált betegek számára is. Lesznek más oltások is, például a vírusvektor oltások (oxfordi oltás), és biztosak vagyunk abban, hogy széles körű jóváhagyás esetén azok is biztonságosnak és hatékonyak bizonyulnak. Ezek szintén nem élő vírust tartalmazó vakcinák, ezért immunhiányos betegeknél is alkalmazhatók. Emlékeztetni szeretnénk arra, hogy a védőoltásoltás a súlyos fertőzések megelőzésének hatékony eszköze, ezért krónikus betegségekben és / vagy immunsuppresszióban szenvedő betegek számára egyéb ajánlott oltásokat is érdemes alkalmazni, például influenza, pneumococcus vagy övsömör elleni oltást, ugyanúgy, mint járvánnyal nem sújtott időben. Beszéljen kezelőorvosával, és óvja egészségét azáltal, hogy él ezekkel a hasznos orvosi újításoknak a lehetőségével.

Egészséges és boldog új évet kívánok!

Prof. Dr. Ansgar W. Lohse
ERN RARE-LIVER Koordinátor
Hamburg-Eppendorf Egyetemi Orvosi Centrum
Hamburg, Németország

TÁJÉKOZTATÓ A SARS-COV2 ELLENI EMLÉKEZTETŐ OLTÁSSAL KAPCSOLATBAN

A Ritka Májbetegségek Európai Referenciahálózatának (ERN RARE LIVER) álláspontja a SARS-CoV2 elleni emlékeztető oltással kapcsolatban

Számos országban elérhetővé vált a SARS-CoV2 elleni emlékeztető oltás, melynek kapcsán a betegekben és családtagjaikban kérdések merülhetnek fel annak szükségeséről és beadásának idejéről.

Mivel még nem áll rendelkezésre ezzel kapcsolatosan elegendő mennyiségű bizonyíték, és a ritka betegségek területén még ennél is jóval kevesebb az adat, nem egyszerű álláspontot foglalni, és tudományosan megalapozott tanácsot adni. Ezen kívül a vakcinák elérhetősége is különböző. Továbbra is elsőbbséget élvez minden még beoltatlan, kockázatnak kitett beteg vakcinációja. Az alábbiakban a 2021. novemberi tudásunknak megfelelően az alábbi ajánlásokat fogalmazzuk meg:

- A vakcinák széles körű hozzáférhetőségének okán ajánlott a felnőtt korú populáció kétszeri beoltása.
- Gyermekek esetén az oltás kockázatát egyénileg kell mérlegelni, de általánosan elmondható, hogy a 12 évnél idősebb kiskorúak esetén ajánlott legalább egy, de lehetőleg két oltás beadása.
- A 12 évnél fiatalabb kiskorúak esetén Európában még nem, az Amerikai Egyesült Államokban a közelmúltban engedélyezték az oltást. Európában egyéni mérlegelést követően engedélyezett az oltás beadása. A mi álláspontunk a következő: a 12 évnél fiatalabb gyermekek esetén csak előrehaladott májcirrózis vagy nagyfokú immunszuppresszió esetében ajánlott az oltás beadása, melybe a májtranszplantáción átesett betegek is beletartoznak. Ugyanakkor az autoimmun hepatitiszes (AIH) fiatal gyermekek esetében az oltás nem tűnik szükségszerűnek, kivéve, ha ahhoz előrehaladott cirrózis társul, vagy nagy dózisú immunszuppressziót alkalmaznak.

Az emlékeztető (harmadik) oltás:

- Minden, már engedélyezett oltásra igaz, hogy bizonyos betegek esetén nem megfelelő az oltást követően kialakuló immunválasz.
- Csökkent immunválaszt írták le a szervtranszplantáción átesett és hematológiai betegek esetén.
- Bizonyos AIH betegek még immunszuppresszív terápia alkalmazása nélkül is gyengébb válaszreakciót adnak az oltásra.
- Az antitest titer és a T-sejt válasz is csökken idővel, melyek valószínűsíthetően a védelem lassú csökkenéséhez vezetnek.
- A fentiek okán, ha van rá lehetőség, ajánlott a SARS-CoV2 elleni antitest szintek ellenőrzése legalább 4 héttel a teljes vakcinációt követően, és a harmadik oltás beadása azoknak a betegeknek, akik nem rendelkeznek megfelelő antitest szinttel (legalább 100 IU).
- Más májbeteggek esetén, ha több mint 6 hónap telt el a második oltás óta, akkor dönthetünk az antitestmérés mellett vagy egyszerűen csak beadhatjuk a harmadik

oltást, de egyik sem kötelező. Ezekben az esetekben ajánlott az egyéni hepatológiai konzultáció.

- Az emlékeztető oltás típusának megválasztása díjmentes, és országonként változhat azok elérhetősége és engedélyezése. Orvosi szempontból minden engedélyezett oltás beadható emlékeztető vakcinaként, függetlenül a korábban használt oltóanyag típusától.
- Ha az első oltást követően specifikus mellékhatások jelentkeztek, ajánlott megvitatni a kezelőorvossal egy alternatív oltás beadását emlékeztető oltásként.

KAPCSOLAT



Prof. Dr. Papp Mária
egyetemi tanár
MTA doktor
ERN RARE-LIVER
magyarországi koordinátor
papp.maria@med.unideb.hu



Prof. Dr. Tornai István
egyetemi tanár
ERN RARE-LIVER
magyarországi
helyettes koordinátor
itornai@med.unideb.hu

Dr. Pfliegler György Med. Habil.
BoMS magyarországi képviselő
g.pfliegler@gmail.com

Dr. Sipeki Nóra PhD
R-LIVER Regiszter koordinátor
sipeki.nora@med.unideb.hu

Dr. Balogh Boglárka
PhD hallgató
CPMS koordinátor
balogh.boglarka@med.unideb.hu

Dr. Kováts Patrícia Julianna
PhD hallgató
R-LIVER Regiszter koordinátor
kovats.patricia@med.unideb.hu

Zádori Zsuzsanna
klinikai kutatási adminisztrátor
zadori.zsuzsanna@med.unideb.hu



European
Reference
Networks



Co-Founded by the European Union

A Debreceni Egyetem Klinikai Központjának Gasztroenterológiai Tanszéke A Ritka Májbetegségek Európai Referenciahálózatának (ERN RARE-LIVER) 2019. márciusa óta társult tagja és 2022. januárja óta teljes jogú tagja.

Jogi nyilatkozat

The Hungarian version of this guide is a translation of the original English version and is provided for information purposes only. In case of any discrepancy, the English original will prevail. EASL makes no warranty of any kind with respect to any translated guide.

Az útmutató magyar nyelvű változata az eredeti angol szöveg fordítása, és csak tájékoztató jellegű. eltérés esetén az eredeti angol szöveg az irányadó. Az EASL semmiféle garanciát nem vállal a lefordított útmutatókra vonatkozóan.

Disclaimer

The information provided free of charge on our website has been compiled to the best of our knowledge in order to give interested readers an initial overview of possible diseases and treatment options. They are intended solely for informational purposes and in no case replace personal advice, examination or diagnosis by authorized doctors.

Jogi nyilatkozat a betegek felé

A honlapunkon ingyenesen hozzáférhető tájékoztató szövegeket a legjobb tudásunknak megfelelően gyűjtöttük össze abból a célból, hogy az érdeklődők átfogó képet kapjanak lehetséges betegségeikről és a kezelési módokról. A honlapon megjelenő információk kizárólag tájékoztató jellegűek, és egyetlen esetben sem helyettesítik a szakorvosok személyes tanácsait, a fizikai vizsgálatokat vagy az orvos által felállított diagnózist.

