

COMPRENDERE L'ESPERIENZA DELLE PERSONE AFFETTE DA COLANGITE BILIARE PRIMITIVA: SVILUPPO DI UNA MAPPA DELL'ESPERIENZA

Robert Mitchell-Thain et al.

PBC Foundation, Edinburgh, United Kingdom

🕒 Introduzione

- La colangite biliare primitiva (PBC) è una rara malattia autoimmune del fegato, caratterizzata dalla distruzione dei dotti biliari. Le persone affette da PBC possono manifestare sintomi aspecifici come prurito, affaticamento e dolori articolari (1).
- La gravità dei sintomi e il loro impatto sulla qualità della vita non sono sempre correlati alla biochimica epatica o alla progressione della malattia (1). Questa incongruenza riguarda la maggior parte della popolazione affetta da PBC; sebbene molte persone siano asintomatiche alla diagnosi, il 50% può sviluppare sintomi dopo 5 anni e il 95% entro 20 anni dalla diagnosi (2).
- Tuttavia, l'esperienza delle persone che vivono con la PBC è molto variabile e la comprensione attuale è limitata.
- Per comprendere meglio l'esperienza dei pazienti durante il decorso della malattia, sono state consultate persone che vivono con la malattia per raccogliere i loro pensieri, sentimenti e sintomi e l'impatto complessivo della PBC sulla loro vita.

🕒 Metodi

- È stata condotta una prima revisione delle fonti online, tra cui la letteratura disponibile pubblicamente, i siti web delle organizzazioni mediche e dei pazienti e le storie dei pazienti, per identificare i temi chiave: l'esperienza complessiva, i sintomi, l'impatto emotivo, l'evoluzione delle esigenze dei pazienti e le interazioni con il team medico.
- Questi temi sono stati utilizzati per guidare una riunione con un comitato direttivo di sette sostenitori della PBC. Le intuizioni sono state convalidate attraverso interviste 1:1 e una mappa visiva dell'esperienza è stata creata e finalizzata con il comitato direttivo.

🕒 Risultati

- Il percorso della PBC è stato suddiviso in sei periodi distinti, che rappresentano la diagnosi, la convivenza con la PBC e la progressione verso la malattia epatica in fase terminale.
- Sono state aggiunte le esperienze cliniche chiave, comprese le misure rappresentative della biochimica epatica, per fornire un punto di riferimento clinico.
- La mappa risultante evidenzia che una gestione efficace della PBC richiede un approccio multifattoriale, che aspiri a una biochimica epatica normale, ottenendo al contempo un basso carico di sintomi e ottimizzando la qualità della vita.
- Le persone affette da PBC esprimono un forte bisogno di vedere riconosciute le loro esperienze e di essere prese in considerazione nelle strategie di gestione, oltre che nelle misure cliniche.

🕒 Conclusioni

- Presentiamo una prima mappa dell'esperienza dei pazienti affetti da PBC, un aiuto visivo per allineare gli approcci al trattamento e all'assistenza con le esperienze e le esigenze riportate dai pazienti.

	Disease onset		Disease progression		End-stage disease	
	Pre-diagnosis	Diagnosis	First-line treatment initiation	Second-line treatment initiation	Liver transplant	Post-liver transplant
Clinical experience	Patient presents with non-specific symptoms	Diagnosis confirmed	Treatment initiated	Monitoring may trigger additional treatment	Liver transplant in progressive cases	Reoccurrence of PBC is possible in some cases
Liver biochemistry	May/may not be tested	Vital tool for diagnosis	Will improve with treatment for many people	May improve with treatment	Resolves with transplant	May deteriorate over time in some patients
Symptoms	- Non-specific (pruritus, fatigue and abdominal pain), difficult to fully explain their impact on quality of life - Some patients are asymptomatic	Suffer through symptoms whilst awaiting diagnosis	Fatigue is debilitating with sudden, unpredictable onset	Pruritus is a challenge, adding to the apprehension of second-line treatment	Severe pruritus can be an important driving factor for liver transplant	Resolution of symptoms
Emotional impact	Dismissed	Isolated	Unsupported	Depressed	Fearful	Peaceful
Patient needs	- Reduce misdiagnosis/ diagnostic delays - Validate patient's experience	- Increase awareness of the signs and symptoms of PBC - Provision of simple and informative materials	Additional support for symptom management	Focus on alleviating symptoms and optimizing quality of life, not only liver biochemistry	Support whilst waiting for transplant	Information on potential reoccurrence of PBC
Overall patient experience	Journey to diagnosis was generally considered traumatic	Worried about lack of awareness of PBC	Excluded from care decisions	Tests and results have a large emotional impact	May be the only solution for symptoms	Improved quality of life

- La futura validazione con un'indagine mirata su un gruppo più ampio di pazienti mirerà a rafforzare questi risultati e a garantire un'accurata rappresentazione della popolazione di PBC.

Riferimenti bibliografici.

1. Hirschfield GM et al., Gut 2018;67:1568-1594; 2. Prince MI et al Gut 2004;53:865-870