



## **Samenvatting proefschrift M.H. Harms**

**‘Prognosis and Treatment of Primary Biliary Cholangitis – a new name, a new era**

**Promotiedatum: 10 januari 2020  
Erasmus Universiteit Rotterdam**

**Promotor:**  
Prof. dr. H.J. Metselaar

**Copromotor:**  
Dr. H.R. van Buuren  
Dr. B.E. Hansen

De afkorting PBC staat sinds enkele jaren voor primaire biliare cholangitis, in plaats van het voormalige primaire biliare cirrose. Deze naamswijziging is illustratief voor het aanbreken van een nieuw tijdperk voor patiënten met PBC. In dit proefschrift, waarin de meeste studies zijn verricht in een groot internationaal cohort, komt naar voren dat therapie met ursodeoxycholzuur geassocieerd is met een verbeterde transplantatievrije overleving in alle patiëntgroepen, onafhankelijk van ziektestadium en zelfs in geval van incomplete biochemische respons. De number needed to treat om dood of levertransplantatie te voorkomen is over het algemeen zeer laag. Binnen een groot cohort dat werd behandeld met ursodeoxycholzuur was de cumulatieve 10-jaarsincidentie van decompensatie laag. In patiënten met een incomplete biochemische respons op deze eerstelijns therapie zagen we dat zowel fenofibraten als bezafibraten als add-on therapie over het algemeen leidden tot een succesvolle en vergelijkbare biochemische verbetering. Ook obeticholzuur als add-on therapie leidde in een populatie met suboptimale respons op ursodeoxycholzuur tot biochemische verbeteringen, geassocieerd met een verbeterde prognose. We vonden verder dat bilirubine binnen de huidige grenzen van normaal ook geassocieerd is met transplantatievrije overleving waarbij 0.6x de huidige bovengrens van normaal de hoogste prognostische waarde bleek te hebben.

---

*Aan de publicatie van dit proefschrift werd een financiële bijdrage geleverd door de Nederlandse Vereniging voor Hepatologie.*

Voor proefschriftsamenvattingen zie:  
[www.hepatologie.org](http://www.hepatologie.org)