



Bulletin de la communauté Alpha-1 Canada



Décembre 2010

Ce qu'il y a de
nouveau sur le site
www.alpha1canada.ca

- Baxter International Inc. acquiert le droit exclusif de distribuer le traitement d'augmentation d'alpha-1-antitrypsine Glassia™ de Kamada au Canada
- Balado avec notre téléconférencière Dr. Durhane Wong-Rieger, PhD

Dans ce numéro :

Suivi sur un
cadre
réglementaire
pour les 2
maladies rares
au Canada

Présence du
stand
d'exposition
d'Alpha-1 2-3
Canada à un
événement
local

Exercez votre
cœur durant la 3-4
période des
Fêtes!

Recherches
Intéressantes 4-7

Joyeuses Fêtes



RÉPANDRE LA LUMIÈRE

Pour nos êtres chers,
Pour les Alphas que nous connaissons,
Et ceux que nous ne connaissons pas.

CHÉRISSEZ LE CADEAU DU SAVOIR

Veuillez vous joindre à Alpha-1 Canada pour allumer notre
chandelle virtuelle multifonctionnelle annuelle.



Quel meilleur moment de l'année pour sensibiliser et éduquer le public par rapport au déficit en alpha1-antitrypsine (AAT) et pour offrir notre soutien aux personnes atteintes de cette maladie à l'échelle locale, nationale et internationale, et ce, tout en transmettant nos meilleurs vœux pour la période des Fêtes. Tout ce que vous devez faire est d'envoyer à votre famille et à vos amis la carte virtuelle que vous recevrez le 20 décembre de la part d'Alpha-1 Canada, et de leur demander de faire circuler cette carte.

Nous vous remercions à l'avance de votre participation et nous espérons que ce geste connaîtra un succès retentissant dans le monde entier et qu'il se répètera tous les ans.

Nous vous offrons nos meilleurs vœux pour la période des Fêtes.

Les employés et le conseil d'administration d'Alpha-1 Canada



L'élaboration et la mise en œuvre d'un cadre réglementaire pour les maladies rares dans l'ensemble du Canada – Promesses tenues?

par Vanessa McLaughlin

Au nom d'Alpha-1 Canada, j'aimerais remercier la docteure Durhane Wong-Rieger qui fut notre conférencière lors de la réunion du 2 décembre dernier.



La docteure Wong-Rieger a amorcé sa discussion en mentionnant qu'Alpha-1 Canada était le premier groupe de patients à qui elle révélait les plus récents développements sur les changements proposés qui feront partie d'un processus de modernisation de Santé Canada et sur les

consultations techniques tenues par l'organisme à propos d'un cadre réglementaire pour les maladies rares.

Plus particulièrement, Santé Canada a commencé à rédiger des règlements provisoires pour l'élaboration et la mise en œuvre d'un cadre réglementaire pour les maladies rares, à l'image de celui adopté par l'Union européenne. Ce cadre comprendrait des mesures incitatives pour l'élaboration de nouveaux médicaments, l'orientation en matière de recherche clinique et les processus d'homologation de nouveaux médicaments. Il fournirait par ailleurs une définition officielle du terme « maladies rares », car celles-ci touchent 5 Canadiens sur 10 000, et le déficit en AAT ferait partie de cette définition.

Cela dit, la docteure Wong-Rieger nous a rappelé que le cadre réglementaire ne prendrait effet qu'après l'adoption d'une loi, ce qui pourrait s'avérer être un processus de longue ha-

leine. Par conséquent, nous devons continuer d'exercer des pressions auprès de Santé Canada afin que l'accent soit mis sur les médicaments orphelins, ainsi que sur un cadre réglementaire national pour les maladies rares, indépendamment du processus de modernisation de Santé Canada. Bien entendu, vous pouvez aider en écrivant à votre député pour lui demander de s'engager à rédiger une lettre au ministre de la Santé afin que celui-ci fasse de ce cadre réglementaire une priorité.

Si vous n'avez pas été en mesure d'assister à la conférence de la docteure Wong-Rieger et que vous souhaitez entendre son discours sur l'élaboration et la mise en œuvre d'un cadre réglementaire pour les maladies rares dans l'ensemble du Canada, ou si vous désirez tout simplement écouter de nouveau sa présentation, veuillez consulter le fichier balado disponible sur notre site Web.

Présence du stand d'exposition d'Alpha-1 Canada à plusieurs événements locaux

Le Forum mondial sur la maladie pulmonaire obstructive chronique (MPOC), organisé par le groupe de soutien des personnes atteintes de maladies pulmonaires (Lung Disease Support Group), s'est tenu le 25 novembre 2010 à l'hôtel Howard Johnson Plaza de Sudbury.

L'événement a fait salle

comble et a accueilli plus de 140 personnes. Divers sujets ont été abordés, notamment le stress et le traitement de la MPOC, les bienfaits de la réadaptation pulmonaire et le rôle de l'oxygénothérapie. En outre, le docteur Andrew Pipe de l'Institut de cardiologie de l'Université d'Ottawa a discuté de l'abandon du tabac.

Une douzaine d'espaces d'exposition étaient aménagés, dont deux stands de spirométrie animés par des inhalothérapeutes qui évaluaient la fonction pulmonaire des visiteurs.

Monsieur Jerry Cunningham, membre du conseil d'administration et trésorier d'Alpha-1 Canada, était

suite à la page 3

BALADO (en anglais seulement)

Écoutez notre dernier balado avec Durhane Wong-Rieger, PhD sur le développement et la mise en œuvre d'un cadre canadien sur les maladies rares:
http://www.alpha1canada.ca/Education-al_Podcasts

Événement Local

Si vous avez participé à un événement local et que vous désirez faire part de cette expérience à nos lecteurs, veuillez communiquer avec nous.

Le conseil du mois

Vous avez plus de 50 ans? Consommez une portion additionnelle de lait ou de substituts (yogourt, fromage, lait de soya) tous les jours pour préserver votre santé osseuse.

Pour lire l'article complet, visitez le site : http://morethanmedication.ca/en/article/index/nutrition_aging.

Présence du stand d'exposition d'Alpha-1 Canada à plusieurs événements locaux

suite de la page 2

présent à l'événement et animait le stand d'exposition d'Alpha-1 Canada et remettait des brochures d'information. Nous remercions sincèrement monsieur Carmen Huot, qui a généreusement offert le magnifique panier-cadeau. D'après le grand nombre de bulletins de participation récoltés pour le tirage au sort, on peut en conclure que de nombreuses personnes se sont arrêtées à notre stand.

Pour en savoir davantage

sur cet événement, veuillez visiter le site www.ldsg.ca.



Photo by Marg Seregelyi

Exercez votre cœur durant la période des Fêtes!

Les Fêtes arrivent à grands pas et nous nous demandons souvent quoi offrir à nos proches. Cette année, pourquoi ne pas verser une contribution à Alpha-1 Canada en faisant un don au nom d'un parent, d'un enseignant ou d'un ami remarquable? En versant un don au nom d'une autre personne est également une bonne façon d'appuyer un organisme de bienfaisance et d'honorer une personne qui le mérite bien.

Alpha-1 Canada offre de nombreux programmes et services qui pourraient bénéficier de votre appui.

Le service d'écoute téléphonique (1-888-669-4583) fournit de l'information aux patients et à leurs aidants en permanence, que ce soit de façon régulière ou en cas d'urgence.

Le comité consultatif médical se réunit régulièrement pour informer le conseil

d'administration et le personnel des derniers progrès réalisés dans le domaine de la recherche et des traitements.

Le site Web www.alpha1canada.ca) est continuellement mis à jour.

Le bulletin mensuel tient les patients et leurs aidants au courant des dernières nouvelles et leur présente les histoires de membres de la communauté Alpha-1, les Alphas.

Outre le site Web et le bulletin, Alpha-1 distribue et offre au grand public des documents imprimés. L'impression et l'expédition de ces outils coûtent très cher.

Alpha-1 Canada soutient ses membres de diverses façons : communication par courriel, service d'écoute téléphonique et organisation de plusieurs groupes



Nicole
Menard

A fait un don à Alpha-1 Canada pour aider les personnes atteints d'un déficit en alpha-1-antitrypsine au nom de

Claude
Ouellette

de soutien.

Comme Alpha-1 Canada est membre de la Canadian Organization for Rare Disorders (CORD), elle est au fait des décisions prises par le gouvernement en matière de soins de santé et de couverture des médicaments, et contribue à soutenir les initiatives qui

suite à la page 4

Exercez votre cœur durant la période des Fêtes!

suite de la page 3

sont dans l'intérêt de la communauté Alpha-1 du Canada.

Il ne s'agit là que de quelques-uns des programmes et services que vous pouvez soutenir financièrement, afin d'aider les personnes déficientes en AAT durant cette période d'amour et de générosité. Nous vous enverrons une carte-cadeau pour vous faciliter la tâche. Par ailleurs, vous recevrez du même coup une déduction fiscale.

Les gens nous disent souvent qu'ils ne peuvent pas verser des dons importants, et nous en sommes parfaitement conscients, particulièrement durant ce contexte économique difficile.

Mais un don minime peut faire toute la différence. En effet, un don de 5 \$ peut

couvrir les frais inter

urbains permettant aux parents d'un nouveau-né récemment diagnostiqué de parler à quelqu'un pour savoir à quoi s'attendre et apprendre que même si leurs vies vont changer, l'espoir subsiste. Un don de seulement 10 \$ peut assurer que deux médecins additionnels recevront l'information nécessaire pour savoir quand soupçonner qu'un patient souffrant d'une maladie pulmonaire obstructive chronique (MPOC) ou d'asthme pourrait être atteint d'un déficit en AAT et comment effectuer le dépistage.

Si deux personnes versaient 100 \$ chacune, nous pourrions organiser une autre réunion ouverte à tous avec un conférencier pouvant répondre à de nombreuses questions, et l'enregistrement vidéo de cette rencontre pourrait

aider les centaines de personnes qui le visionneraient sur notre site Web.

Certains de nos donateurs utilisent le site www.CanadaHelps.org pour verser leurs dons chaque mois et multiplier leur œuvre charitable par douze. CanadaHelps.org vous permet de faire des dons par carte de crédit une seule fois ou sur une base mensuelle sans même devoir retourner sur le site chaque mois.

Savoir qu'un cadeau est un acte de charité qui a égayé la vie de quelqu'un peut mettre la période Fêtes en contexte pour vous et la personne pour laquelle vous avez fait le don.

Nous aimerions profiter de cette occasion pour exprimer toute notre gratitude à nos donateurs précédents et encourager ceux qui le peuvent à se joindre à eux.

Dons

Apprenez comment vous pouvez donner des cadeaux qui n'ont pas à être emballés et qui informent, éduquent et soutiennent les personnes qui ont vraiment besoin de votre aide.

Pour obtenir de plus amples renseignements, communiquez avec Alpha-1 Canada par téléphone au 1-888-669-4583 ou par courriel à l'adresse vanessa.mclaughlin@alpha1canada.ca.

Recherches intéressantes

Vous trouverez ci-après le résumé d'études récentes sur le déficit en AAT et la MPOC. La Loi sur le droit d'auteur ne nous autorise qu'à publier les résumés de ces articles. Si vous désirez en apprendre davantage, vérifiez si la bibliothèque de votre région reçoit les revues mentionnées ci-dessous.

Rôle de l'inactivité physique dans la progression de l'invalidité chez les personnes âgées atteintes d'une maladie pulmonaire obstructive

Katz P, Chen H, Omachi TA, Gregorich SE, Julian L, Cisternas M, Balmes J, Blanc PD. Faculté de médecine,

Université de California, San Francisco.

Journal of Cardiopulmonary Rehabilitation and Prevention. Le 29 novembre 2010. [Publication électronique précédant l'impression]

Résumé

OBJECTIF : Il est difficile d'évaluer la contribution indépendante de l'inactivité physique dans l'invalidité chez les personnes atteintes de maladie pulmonaire obstructive, en partie parce que l'inactivité peut refléter la gravité de la maladie. Nous avons examiné le lien entre l'inactivité physique et la progression de l'invalidité au cours d'une période d'un an chez un

groupe de personnes âgées atteintes d'une maladie pulmonaire obstructive.

MÉTHODOLOGIE : Étude de cohorte menée dans la population, regroupant des patients ayant déclaré être atteints d'emphysème, d'une maladie pulmonaire obstructive chronique ou d'une bronchite chronique, et ayant reçu le diagnostic d'un médecin. Au début de l'étude, les sujets ont participé à une entrevue et subi une spirométrie, puis ont réalisé une entrevue de suivi après un an. Le questionnaire CHAMPS (Community Health Activities Model Program for

suite à la page 5



Suivez-nous sur Twitter!

Grâce à son interface facile et à sa gratuité, à son vaste auditoire potentiel, à la possibilité de converser directement avec les gens et de rejoindre un public plus intéressé par les causes importantes que par la publicité, Twitter apparaît comme une solution « sans effort » pour tout organisme à la recherche de philanthropes ou de reconnaissance à l'égard de sa mission.

Joignez-vous à nous sur Twitter : envoyez-nous des messages, parlez de nous et diffusez nos messages. Nous en ferons autant. Ensemble, nous pouvons profiter des médias sociaux pour accroître la sensibilisation et l'appui aux personnes atteintes d'un déficit en AAT. Réfléchissez à toutes les possibilités qui s'offrent à nous et la façon dont VOUS pouvez les exploiter!

Recherches Intéressantes

suite de la page 4

Seniors) évaluant l'activité physique a fourni des estimations de la dépense énergétique; l'inactivité physique a été définie comme l'absence de dépense énergétique lors d'activités physiques d'intensité modérée à élevée. L'invalidité était mesurée à l'aide de l'échelle d'évaluation des activités quotidiennes (Valued Life Activity [VLA]); une invalidité accrue était définie comme une augmentation de 10 % ou plus du score d'invalidité lors de l'évaluation de suivi après un an. La régression logistique évaluait le lien entre l'inactivité initiale et la progression de l'invalidité en tenant compte de l'âge, du sexe, du score d'invalidité initial à l'échelle d'évaluation des activités quotidiennes, des comorbidités, du tabagisme et de la fonction pulmonaire.

RÉSULTATS : Parmi les sujets, 27 % étaient physiquement inactifs au départ et 42,9 % dont l'invalidité s'est accrue étaient inactifs au début de l'étude, comparativement à 23,4 % des participants qui n'ont pas présenté de progression de l'invalidité. Avec l'ajustement des covariables, la progression de l'invalidité après un an était importante et plus fréquente chez les sujets qui étaient physiquement inactifs au départ.

CONCLUSIONS : Les sujets physiquement inactifs atteints d'une maladie pulmonaire obstructive étaient deux fois plus susceptibles de présenter une invalidité accrue, même en tenant compte de l'invalidité et de

la fonction pulmonaire au départ, ainsi que d'autres covariables. Ces résultats permettent de soutenir fortement l'importance de la pratique régulière de l'activité physique chez les personnes atteintes d'une maladie pulmonaire obstructive.

Antibiothérapie dans le traitement des exacerbations de la maladie pulmonaire obstructive chronique (MPOC)

Butorac-Petanjek B, Parnham MJ, Popovic-Grlje S.

Journal of Chemotherapy. Novembre 2010;22(5):291-7.

Résumé

La maladie pulmonaire obstructive chronique (MPOC) se classe déjà au quatrième rang des causes les plus fréquentes de mortalité dans le monde et il est probable qu'elle se hisse au troisième rang d'ici quelques années. Comme il s'agit d'une maladie inflammatoire des voies respiratoires avec réponse immunitaire altérée de l'hôte, les complications infectieuses sont fréquentes.

Les exacerbations aiguës de la MPOC aggravent considérablement l'état de santé des patients, accélérant du même coup la progression de l'invalidité. Chaque épisode d'exacerbation précipite la détérioration progressive de la fonction pulmonaire. Les nombreuses causes d'exacerbations aiguës de la MPOC comprennent, entre autres, les infections virales ou bactériennes, ou encore la pollution atmosphérique, mais la cause la

plus courante demeure l'étiologie bactérienne (50-69 %). La prise en charge des exacerbations aiguës de la MPOC demeure extrêmement complexe et impose un lourd fardeau économique aux établissements de soins de santé. La décision d'utiliser des antibiotiques pour traiter les exacerbations aiguës de la MPOC est multifactorielle, la considération la plus importante étant la gravité du stade de la MPOC, l'indice de performance du patient, les symptômes cliniques (augmentation de la dyspnée et du volume et de la purulence des expectorations), la gravité des exacerbations actuelles et antérieures, la présence de comorbidités et l'usage de tabac actuel du patient.

Les exacerbations nécessitant une hospitalisation sont associées à un taux de mortalité élevé chez les patients hospitalisés. Les patients atteints d'exacerbations aiguës de la MPOC qui présentent une aggravation de la dyspnée et une augmentation du volume et de la purulence des expectorations devraient être traités au moyen d'un antimicrobien. Si des antibiotiques sont administrés, le traitement doit comprendre une protection contre *Haemophilus influenzae*, *Streptococcus pneumoniae* et *Moraxella catarrhalis* dans tous les cas, mais il peut être nécessaire de cibler d'autres bactéries (notamment les bactéries à Gram négatif) dépendamment de l'état de santé du patient. Les antibiotiques, particulièrement les macrolides et les fluoroquinolones

suite à la page 6

Recherches Intéressantes

suite de la page 5

lorsqu'ils sont administrés dans des conditions appropriées, ralentissent l'évolution clinique de la maladie et préviennent une détérioration importante de l'état de santé. Les complications possibles résultant de l'absence de traitement des exacerbations aiguës graves de la MPOC surpassent les risques potentiels associés à l'antibiothérapie. Des effets anti-inflammatoires et immunomodulaires additionnels de certains antibiotiques peuvent contribuer à leur efficacité dans le traitement des exacerbations aiguës de la MPOC.

La réadaptation pulmonaire atténue les symptômes de la dépression et rehausse la qualité de vie reliée à la santé chez les patients atteints de MPOC - surtout chez les patients atteints d'une forme légère ou modérée de la maladie

Bratås O, Espnes GA, Ranestad T, Walstad R. Faculté des sciences infirmières, Sør-Trøndelag University College, Trondheim, Norvège.

Chronic Respiratory Disease. 2010;7(4):229-37.

Résumé

Cette étude avait comme principal objectif d'évaluer, chez des patients hospitalisés atteints de MPOC, les effets d'un programme de réadaptation pulmonaire d'une durée de quatre semaines sur des paramètres comprenant la capacité à l'effort, la qualité de vie reliée à la santé et la détresse psychologique. Le deuxième

objectif visait à évaluer l'effet de facteurs tels que le sexe, l'âge, la gravité de la maladie, les comorbidités, l'anxiété et la dépression sur l'amélioration de la qualité de vie reliée à la santé chez les patients atteints de MPOC, après une réadaptation pulmonaire.

Cette étude était menée auprès de 136 patients consécutifs atteints de MPOC d'intensité légère à modérée, du début de l'étude jusqu'à la visite de suivi. La capacité à l'effort a été mesurée au moyen de l'épreuve de distance parcourue en 6 minutes de marche; la gravité de la maladie au moyen de tests spirométriques; la qualité de vie reliée à la santé à l'aide du questionnaire sur les symptômes respiratoires St-George; et la détresse psychologique par l'échelle d'évaluation de l'anxiété et de la dépression durant l'hospitalisation. Les variables portant sur les aspects socio-démographiques et les comorbidités étaient déclarées par les patients.

La capacité à l'effort s'était améliorée à la visite de suivi comparativement au début de l'étude, avec une différence des scores de +44 mètres ($p = 0,000$). Outre le score de capacité à l'effort, l'indice de la qualité de vie reliée à la santé s'est nettement amélioré, avec une augmentation de -3,5 par rapport au score des symptômes ($p = 014$) et de -3,1 relativement au score total ($p = 003$), et une amélioration cliniquement significative de -4,0 pour le score de l'impact ($p = 002$). Le score d'anxiété ne s'est pas amélioré de façon significa-

tive après la réadaptation ($-0,1$, $p = 545$), quoiqu'une réduction significative des scores évaluant la dépression ($-0,8$, $p = 002$) et une réduction de 10,4 % de la prévalence des cas possibles de dépression ($p = 017$) ont été notées. Les patients présentant un volume expiratoire maximum en une seconde (VEMS) ≥ 50 % de la valeur prédite étaient 4,2 fois plus susceptibles de connaître une amélioration cliniquement significative de la qualité de vie reliée à la santé après une réadaptation pulmonaire, comparativement aux patients présentant un VEMS < 50 % de la valeur prédite (intervalle de confiance [IC] de 95 %, 1,7-10,3, $p = 002$).

Un programme de réadaptation de quatre semaines en milieu hospitalier améliore la qualité de vie reliée à la santé, ainsi que la capacité à l'effort, et atténue les symptômes de dépression chez les patients atteints de MPOC. Les personnes atteintes d'une forme légère ou modérée de la maladie sont plus susceptibles d'obtenir une amélioration de leur qualité de vie reliée à la santé après une réadaptation pulmonaire comparative aux patients atteints d'une MPOC grave ou très grave.

Dénouement thérapeutique à long terme chez 42 enfants atteints d'un déficit en alpha1-antitrypsine qui ont subi une greffe du foie : étude unicentrique

Hughes MG Jr, Khan KM, Gruessner AC, Sharp H,

suite à la page 7

Veillez communiquer avec nous si vous connaissez des recherches, articles ou autres publications qui pourraient intéresser nos lecteurs.

Alpha-1 Antitrypsin Deficiency Canada

1638 Northway Avenue,
Windsor, Ontario N9B 3L9

Phone/Tél. : 519-258-1444
Fax/Télé. : 519-258-1614
Toll Free/Sans frais : 1-888-
669-4583
E-mail/Courriel :
info@alpha1canada.ca



www.alpha1canada.ca

Nous ajoutons constamment sur notre site Web des renseignements utiles à l'intention des Alphas et de ceux qui les soignent, ainsi que les dernières nouvelles sur des travaux de recherche prometteurs. Visitez régulièrement notre site Web pour être au courant de toutes les mises à jour intéressantes, et n'oubliez pas de lire notre bulletin mensuel dans son intégralité.

Aidez-nous à mieux faire connaître le défi cit en AAT en transférant nos bulletins à vos parents et amis.

Si vous souhaitez recevoir ce bulletin par courriel, veuillez communiquer avec nous au 1-888-669-4583 ou écrivez à vanessa.mclaughlin@alpha1canada.ca

Ce bulletin a été conçu pour appuyer, et non remplacer, votre relation avec votre médecin. Il n'a pas pour but de fournir des conseils médicaux précis aux membres de la communauté Alpha-1 Canada, mais vise plutôt à leur présenter de l'information qui les aidera à mieux comprendre leur état de santé et leur maladie. Alpha-1 Canada n'offre pas de conseils médicaux précis et vous recommande vivement de consulter un médecin qualifié pour obtenir un diagnostic ou pour toute question relative à votre situation personnelle.

Alpha-1 Canada

Alpha-1 Canada – Pour améliorer la vie des Alphas

Recherches Intéressantes

suite de la page 6

Hill M, Jie T, Kandaswamy R, Humar A, Payne WD, Gruessner RW. Université du Minnesota, Minneapolis, Minnesota; Medical University of South Carolina, Charleston, Caroline du Sud; Université du Minnesota, Université de l'Arizona, Tucson, Arizona, États-Unis.

Clinical Transplantation. Le 16 novembre 2010.
[Publication électronique précédant l'impression]

Résumé

Introduction : Le dénouement thérapeutique à long terme de la greffe chez des sujets atteints d'un déficit en alpha1-antitrypsine (AAT) a été examiné.

Méthodologie : Les données de 42 transplantations chez

35 enfants atteints d'un déficit en AAT sur une période de 42 ans ont été comparées aux données de 129 transplantations chez 116 enfants présentant une atrésie des voies biliaires.

Résultats : plus de 50 % des patients ont fait l'objet d'un suivi pendant plus de 10 ans. Les sujets atteints d'un déficit en AAT étaient plus âgés que les sujets présentant une atrésie des voies biliaires au moment de la greffe, et ils ont subi la greffe plus tôt au cours de l'évolution de l'insuffisance hépatique. Le taux de survie a été plus élevé chez les patients atteints d'un déficit en AAT que chez ceux présentant une atrésie des voies biliaires : un an après la greffe, 82,7 % vs 67,9 %; cinq ans

après la greffe, 76,5 % vs 60,2 %; et 10 ans après la greffe, 76,5 % vs 55,9 %. Le taux de survie après la perte du greffon était similaire : un an après la greffe, 68,4 % vs 66,2 %; cinq ans après la greffe, 68,4 % vs 55,8 %; et 10 ans après la greffe, 68,4 % vs 52,5 %. Les décès étaient attribuables aux infections, aux hémorragies et à l'échec de la greffe dans les 6 mois suivant la transplantation. L'âge du sujet lors de la transplantation et le degré d'insuffisance hépatique ont été associés aux différences notées entre les sujets atteints d'un déficit en AAT et ceux présentant une atrésie des voies biliaires quant à la survie des greffons et des patients.