

Charakterisierung der Anwendung von Bedarfsbehandlungen bei Personen mit hereditärem Angioödem in Deutschland



Markus Magerl^{1,2*}, John Anderson³, Laurence Bouillet⁴, Paula J. Busse⁵, Teresa Caballero⁶, William R. Lumry⁷, Marc A. Riedl⁸, Patrick F. K. Yong⁹, Andrea Zanichelli^{10,11}, Kieran Wynne-Cattanach¹², Joan Mendivil¹³

¹Charite - Universitätsmedizin Berlin, Institut für Allergologie, korporatives Mitglied der Freien Universität Berlin und der Humboldt-Universität zu Berlin, Berlin, Deutschland, ²Fraunhofer-Institut für Translationale Medizin und Pharmakologie ITMP, Immunologie und Allergologie, Berlin, Deutschland, ³AllerVie Health, Klinisches Forschungszentrum von Alabama, Birmingham, Alabama, USA, ⁴CHU Grenoble Alpes, Service de Medecine Interne, Centre de reference des Angioedemes, Grenoble, Frankreich, ⁵Mount Sinai Hospital, Abteilung für Medizin, Allergie und Immunologie, New York, NY, USA, ⁶Hospital Universitario La Paz, Abteilung für Allergien, Institut für Gesundheitsforschung des Hospital La Paz (IdiPAZ), Biomedizinisches Forschungsnetz für seltene Krankheiten (CIBERER, U754), Madrid, Spanien, ⁷AARA-Forschungszentrum, Dallas, Texas, USA, ⁸University of California, San Diego, Abteilung für Allergie und Immunologie, La Jolla, CA, USA, ⁹Frimley Health NHS Foundation Trust, Frimley, Surrey, Großbritannien, ¹⁰Universität Mailand, Abteilung für Biomedizinische Wissenschaften für Gesundheit, Mailand, Italien, ¹¹I.R.C.C.S., Poliklinik San Donato, Angioödemzentrum, Abteilung für innere Medizin, Mailand, Italien, ¹²Adelphi Real World, Bollington, Großbritannien, ¹³Pharvaris GmbH, Zug, Schweiz

Offenlegung (COI): M. M.: erhielt Forschungsgelder und/oder Honorare als Referent/Berater von BioCryst, CSL Behring, Intellia, KalVista, Novartis, Octapharma, Pharming, Pharvaris, Shire/Takeda oder ist/war der Prüfarzt in klinischen Studien für diese Unternehmen.

J. A.: ein Mitglied des Referentenbüros von BioCryst, CSL Behring, Pharming, Takeda; erhielt Honorare als der Berater von BioCryst, BioMarin, CSL Behring, KalVista, Pharming, Pharvaris, Takeda und ist der Prüfarzt in klinischen Studien für diese Unternehmen; erhielt Honorare als Berater von Cycle Pharmaceuticals. L. B.: erhielt Honorare von BioCryst, Blueprint, CSL Behring, Novartis, Shire/Takeda. P. B.: erhielt Forschungsunterstützung und war in Beratungsgremien für BioCryst, CSL Behring, Takeda tätig; war ein Berater für CVS Pharmacy, Medscape, Novartis, Regeneron. T. C.: ist/war ein Mitglied von Beratungsgremien für Astra, BioCryst, CSL Behring, KalVista, Novartis, Pharming, Pharvaris, Takeda; ist/war ein Mitglied von Referentenbüros für BioCryst, CSL Behring, Novartis, Pharming, Takeda; erhielt Zuschüsse von CSL Behring, Takeda; erhielt finanzielle Unterstützung für die Teilnahme an Konferenzen/Bildungsveranstaltungen von BioCryst, CSL Behring, Novartis, Takeda; ist/war der Prüfarzt in klinischen Studien/Registern für BioCryst, CSL Behring, Novartis, Pharming, Takeda; ist ein Forscher im Rahmen des IdiPAZ-Programms zur Förderung von Forschungsaktivitäten. W. R. L.: war als Berater, Referent oder Mitarbeiter in der Forschung für AstraZeneca, Astra, BioCryst, BioMarin, CSL Behring, Fresenius-Kabi, GSK, Grifols, Intellia, Ionis, KalVista, Magellan, Optinose, Pharming, Pharvaris, Regeneron, Sanofi, Takeda, Teva tätig. M. A. R.: erhielt Forschungsunterstützung von BioCryst, BioMarin, CSL Behring, Ionis, KalVista, Pharvaris, Takeda; Berater von Astra, BioCryst, BioMarin, CSL Behring, Cycle Pharma, Fresenius-Kabi, Ipsen, KalVista, Ono Pharma, Pfizer, Pharming, Pharvaris, RegenxBio, Sanofi-Regeneron, Takeda; Referent für CSL Behring, Grifols, Pharming, Takeda. P. Y.: erhielt Honorare/Zuschüsse von BioCryst, CSL Behring, Pharming, Takeda für die Teilnahme an Konferenzen, Beratung und/oder Vorträge. A. Z.: erhielt Referenten-/Beraterhonorare von BioCryst, CSL Behring, KalVista, Pharming, Takeda. K. W-C: Mitarbeiter von Adelphi Real World. J. M.: Mitarbeiter von Pharvaris, hält Aktien von Pharvaris.

Einführung

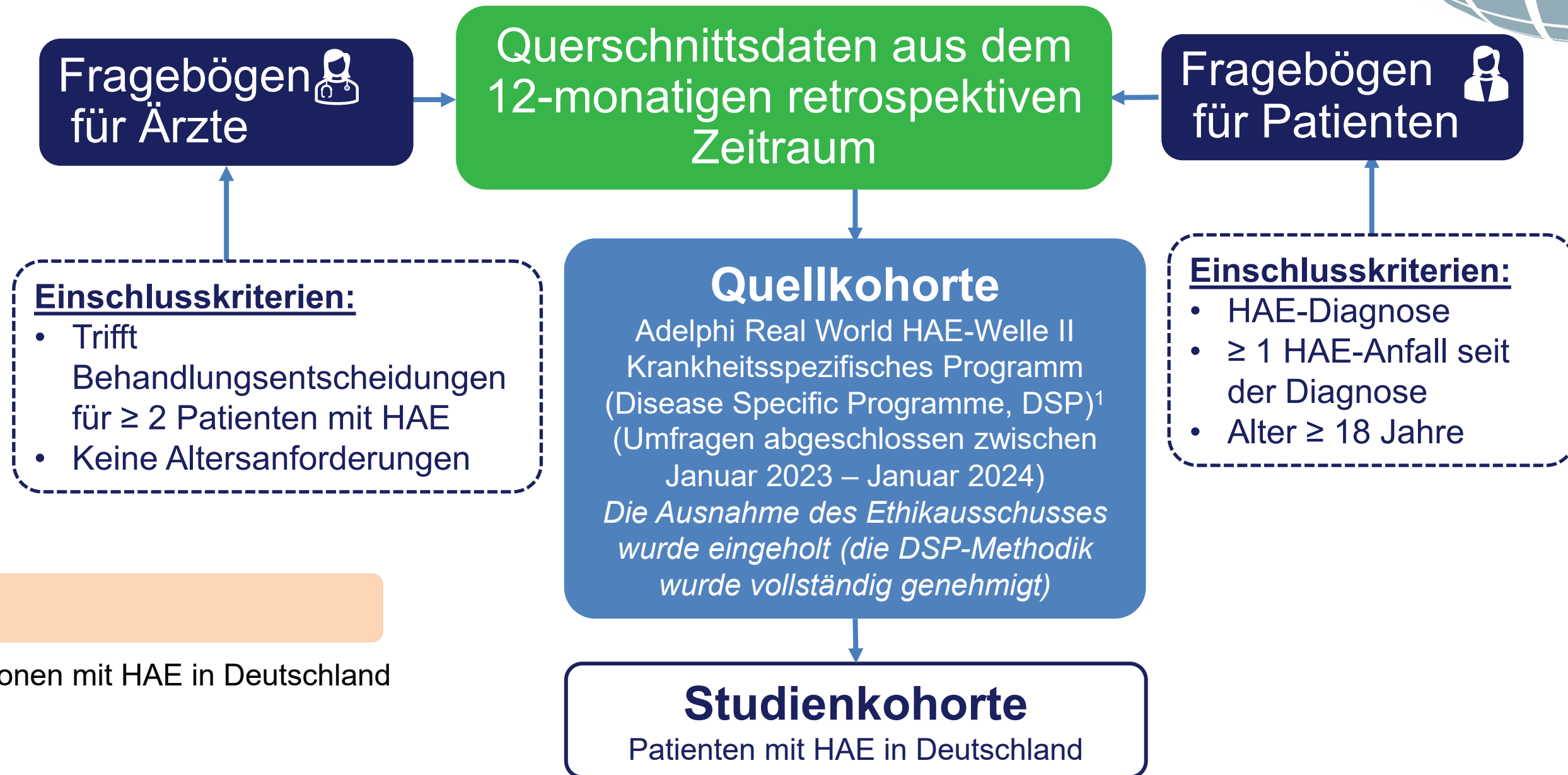
- Das hereditäre Angioödem (hereditary angioedema, HAE) ist eine seltene genetische Erkrankung, die durch schmerzhafte, oft schwächende Anfälle von Schwellungen der Haut, des Magen-Darm-Trakts und der Atemwege gekennzeichnet ist.^{1,2}
- In internationalen klinischen Leitlinien wird empfohlen, dass Personen mit HAE bei allen Anfällen eine ausreichende Bedarfsbehandlung (on-demand treatment, ODT) erhalten, um die Progression, die Morbidität und die Dauer der Symptome der Anfälle zu verringern³⁻⁵
- Es ist jedoch gut dokumentiert, dass nicht alle Personen mit HAE jeden HAE-Anfall behandeln⁶
- Mit dieser Analyse sollte untersucht werden, aus welchen Gründen sich eine Person mit HAE in Deutschland dafür entscheidet, nicht alle Anfälle zu behandeln

Ergebnisse

- Vierunddreißig Ärzte berichteten Daten von 197 Personen mit HAE in Deutschland
 - 50,8 % davon — Frauen
 - Durchschnittsalter ± SD: 28,5 ± 12,1 Jahre
 - Mittlere Zeit seit der Diagnose: 5,6 ± 6,0 Jahre
 - 80,7 % dieser Personen erhielten ihre aktuelle ODT seit durchschnittlich 3,8 ± 4,1 Jahren

Methoden

Methodik des krankheitsspezifischen Programms™ (DSP™)



1. Bernstein JA. *Am J Manag Care*. 2018;24(suppl 14):S292-8. 2. Banerji A, et al. *Ann Allergy Asthma Immunol*. 2020;124:600-7. 3. Busse PJ, et al. *J Allergy Clin Immunol Pract*. 2021;9:132-50.e3. 4. Maurer M, et al. *Allergy*. 2022;77:1961-90. 5. Betschel S, et al. *Allergy Asthma Clin Immunol*. 2019;15:72. 6. US Food and Drug Administration, Center for Biologics Evaluation and Research. The voice of the patient – hereditary angioedema. Mai 2018. <https://www.fda.gov/media/113509/download>. Zugriff am 4. März 2024. 7. Anderson P, et al. *Curr Med Res Opin*. 2023;39:1707-15.

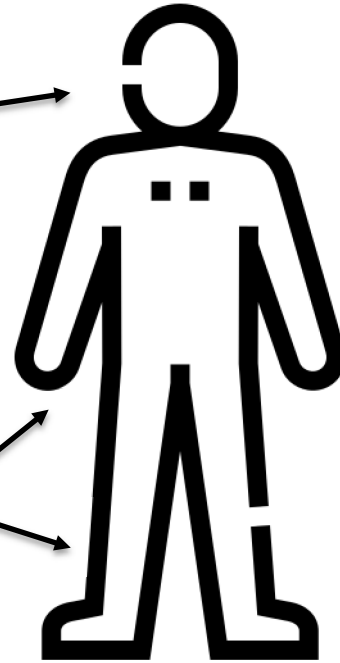


Ergebnisse (Forts.)

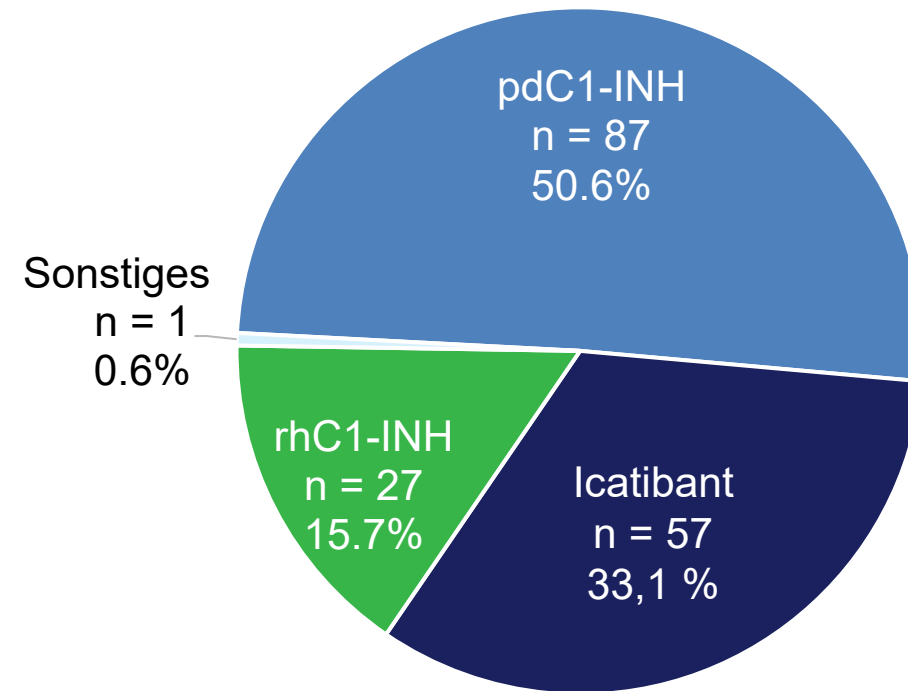
Die häufigsten Symptome während des letzten HAE-Anfalls

60 % (n = 117) der Patienten berichteten über Schwellungen des Kopfes/Halses/Gesichts

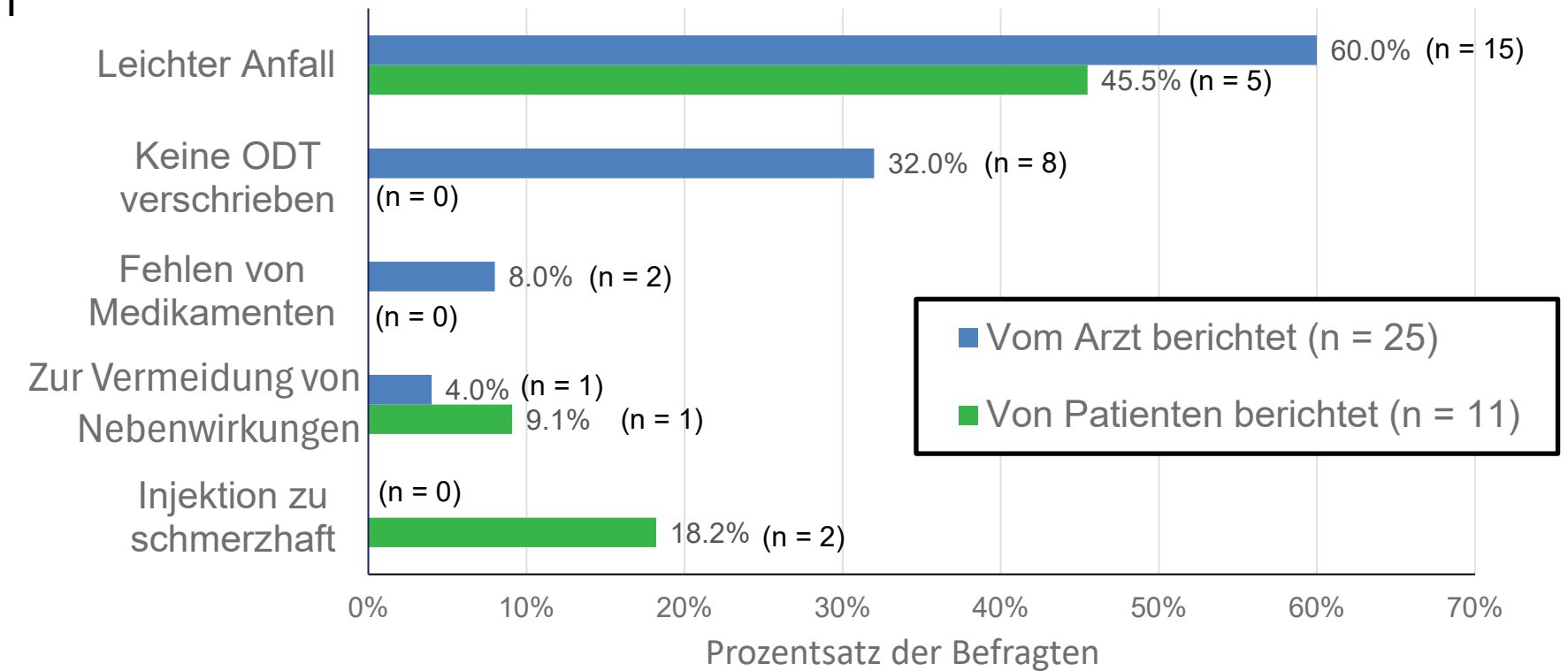
63 % (n = 123) der Patienten berichteten über Schwellungen der Extremitäten



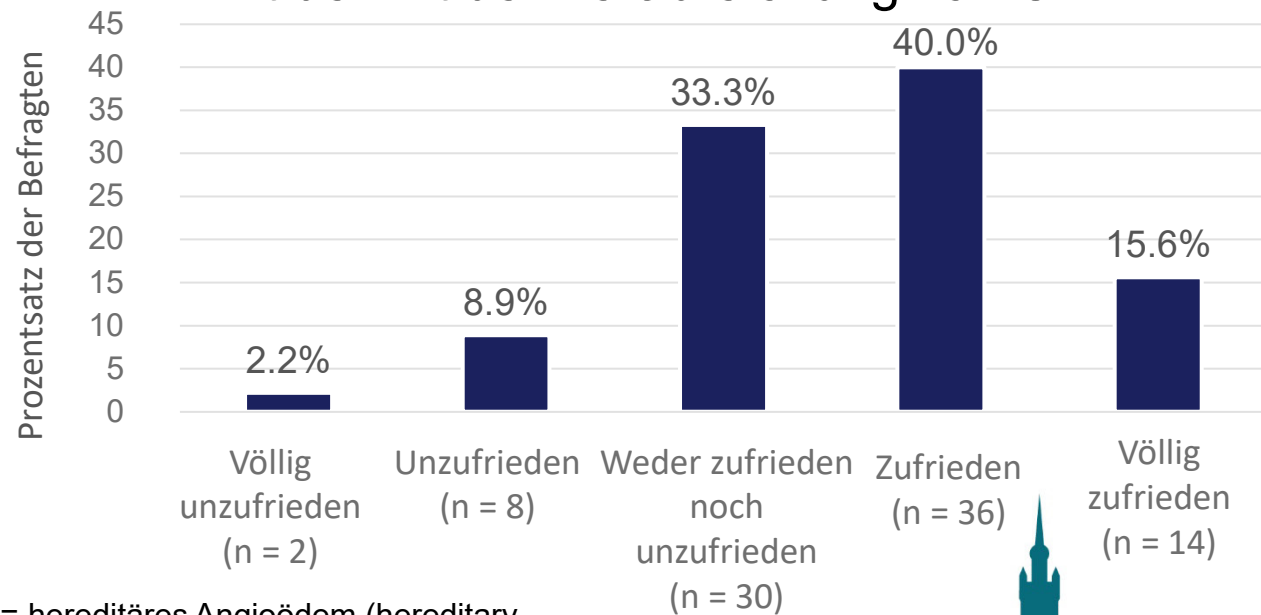
Medikamente, die zur Behandlung des letzten HAE-Anfalls verwendet wurden



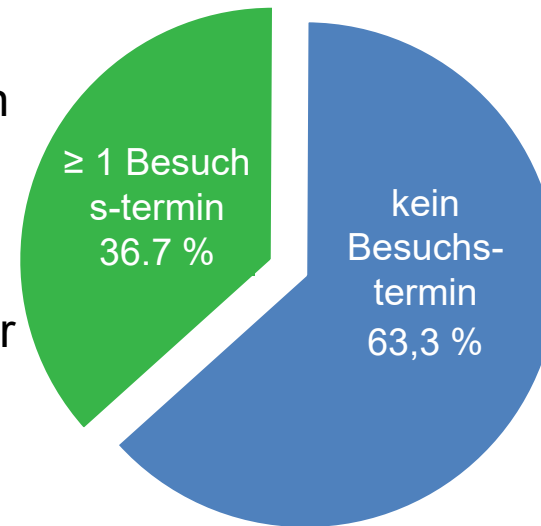
Gründe für die Nicht-Behandlung des letzten HAE-Anfalls



Vom Arzt berichteter Grad der Zufriedenheit mit der Art der Verabreichung von ODT



Die Ärzte berichteten, dass > 1/3 von 166 Patienten in den letzten 12 Monaten ≥ 1 Besuchstermin beim Arzt wegen eines Anfalls benötigten



Schlussfolgerungen

Unbehandelte HAE-Anfälle sind mit einer erheblichen Belastung verbunden. Insgesamt 44 % der Ärzte gaben an, dass sie mit der Art der Verabreichung der derzeitigen ODT neutral gegenüberstehen, unzufrieden oder völlig unzufrieden sind. Dies deutet darauf hin, dass die Verfügbarkeit einer wirksamen oralen Behandlung in Deutschland den Einsatz von ODT erhöhen und den Schweregrad von HAE-Anfällen sowie die Inanspruchnahme von Gesundheitsressourcen verringern könnte.

HAE = hereditäres Angioödem (hereditary angioedema); ODT = Bedarfsbehandlung (on-demand treatment); pdC1-INH = aus Plasma gewonnenes C1-Inhibitor-Konzentrat; rhC1-INH = rekombinantes C1-Inhibitor-Konzentrat.