

Hereditäres Angioödem verstehen und behandeln

Mehr Informationen unter
www.hae-erkennen.at
www.hae-austria.at



www.cslbehring.at
www.cslbehring-care.at/hae.php

CSL Behring GmbH
Austria Campus 6
Walcherstraße 1A/Stiege 1
1020 Wien
www.cslbehring.at

AUT-BRN-0079

Informationen für Patienten

Biotherapies for Life™ **CSL Behring**



VORWORT

Liebe Leserin, lieber Leser,

*mit dieser Broschüre möchten wir Sie über **Ursachen, Symptome und Behandlungsmöglichkeiten** des hereditären Angioödems (HAE) aufklären – eine Erkrankung, die durch wiederkehrende Schwellungsattacken geprägt ist. So möchten wir allen Betroffenen, Angehörigen und Interessierten dabei helfen, die Erkrankung besser zu verstehen und Ihnen Hilfestellung für ein Leben mit HAE geben.*

Bestimmt wissen Sie bereits, dass HAE bei jedem Patienten unterschiedlich ausgeprägt sein kann. So kann ein Patient mehrere Schwellungsattacken pro Woche erleiden, während andere Betroffene ein bis zwei Attacken pro Jahr haben. Auch im Laufe des Lebens kann die Anzahl der Attacken variieren – etwa in der Pubertät, Schwangerschaft oder in stressigen Lebensabschnitten wie Prüfungsphasen. Wir möchten Ihnen hier einen Überblick darüber geben, welche verschiedenen Behandlungsarten es grundsätzlich gibt und welche Bedeutung die Therapie mit humanem C1-Esterase-Inhibitor dabei einnimmt.

Natürlich kann die Broschüre nicht die Beratung durch Ihren Arzt ersetzen. Besprechen Sie deshalb bitte alle Ihre Fragen mit Ihrem Arzt oder Ihrer Ärztin.

Ihr CSL Behring Team

HAE: Ursachen und Symptome



SO ENTSTEHEN SCHWELLUNGEN^{1,2}

Das **hereditäre Angioödem** (engl.: hereditary angioedema, kurz: HAE) ist eine seltene, aber schwerwiegende Erkrankung: Ein Gendefekt führt dazu, dass das Eiweiß C1-Esterase-Inhibitor (C1-INH) nicht in ausreichenden Mengen gebildet wird oder in seiner Funktion beeinträchtigt ist. Der Mangel an C1-INH hat zur Folge, dass aufgrund von Reaktionen im Körper zu viel Flüssigkeit aus den Blutgefäßen austritt, die sich im Gewebe ansammelt.

Folge sind die typischen HAE-Schwellungsattacken an Haut und Schleimhäuten, die am ganzen Körper auftreten können. An Armen und Beinen können die Schwellungen die Bewegung stark einschränken, und im Magen-

Darm-Trakt können sie zu kolikartigen Schmerzen, Übelkeit, Erbrechen und Durchfall führen. Im Bereich der oberen Atemwege können Schwellungen zu Atemnot führen und unbehandelt lebensbedrohlich werden. Es gibt verschiedene mögliche Auslöser, die eine Schwellungsattacke hervorrufen können, wie beispielsweise Stress, Verletzungen, Infektionen oder hormonelle Veränderungen.

HAE kommt **bei Frauen und Männern gleich häufig vor** und kann von beiden weitervererbt werden. Jeder Träger der Erbanlage kann die Symptome von HAE entwickeln, man spricht dabei von einem autosomal-dominanten Erbgang. In manchen Fällen entsteht HAE nicht aufgrund einer Vererbung durch die Eltern, sondern wegen einer spontanen Veränderung (Spontanmutation) des C1-INH-Gens.

Symptome und Merkmale²

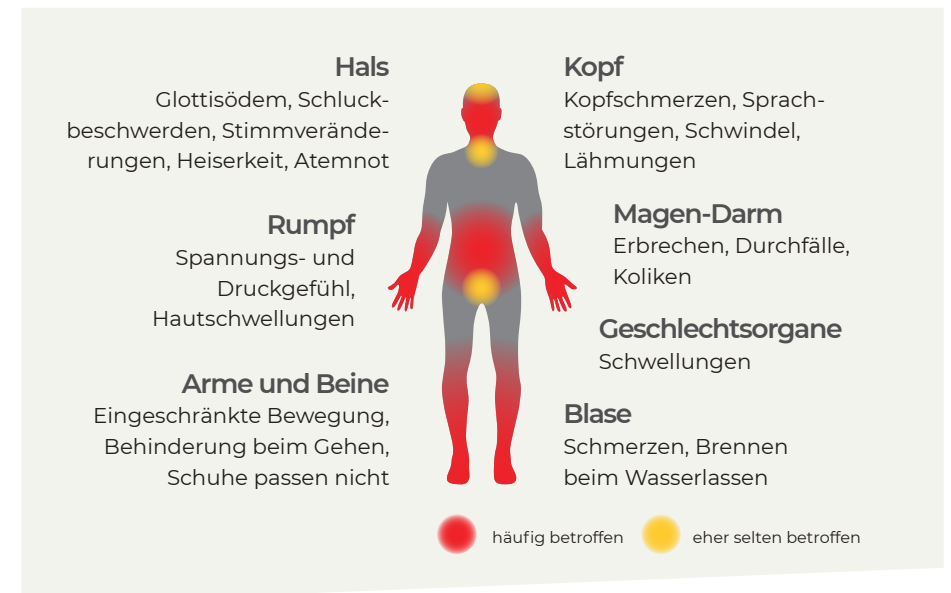


Abb. 1



Behandlungsarten im Überblick¹

Bei der Therapie des hereditären Angioödems unterscheidet man zwischen der Behandlung **akuter Schwellungsattacken** und der **vorbeugenden Therapie (Kurzzeit- oder Langzeitprophylaxe)**.

Auf der rechten Seite finden Sie einen Überblick über alle Behandlungsoptionen, auf den darauffolgenden Seiten erfahren Sie mehr zur Therapie mit C1-INH-Konzentrat. **Die Therapie sollte stets in Abstimmung mit einem erfahrenen Arzt oder in Abstimmung mit einem HAE-Zentrum erfolgen.**

AKUTTHERAPIE VON HAE-ATTACKEN

Behandlungsoptionen:

- Verschiedene C1-INH-Präparate, die in die Vene gespritzt werden (intravenös)
- Bradykinin-B2-Rezeptor-Antagonist, der unter die Haut gespritzt wird (subkutan)

KURZZEITPROPHYLAXE

Vorbeugung von HAE-Attacken vor medizinischen, zahnärztlichen oder chirurgischen Eingriffen.

Behandlungsoption:

- Verschiedene C1-INH-Konzentrate, die aus humanem Plasma hergestellt und intravenös verabreicht werden

LANGZEITPROPHYLAXE

Bei stark betroffenen Patienten, die beispielsweise an besonders häufigen oder schweren HAE-Attacken leiden, kann eine Langzeitprophylaxe in Betracht gezogen werden, welche die Entstehung von Attacken vermeiden soll.

Behandlungsoptionen:

- | | | | |
|--|--|---|---|
| • Ein subkutan zu verabreichendes C1-INH-Konzentrat, hergestellt aus humanem Plasma. | • Ein intravenös zu verabreichendes C1-INH-Konzentrat, ebenfalls aus humanem Plasma. | • Ein monoklonaler Antikörper, der die Entstehung von Bradykinin hemmt. | • Ein oral einzunehmendes Präparat (Berotralstat), welches Plasma-Kallikrein hemmt. |
|--|--|---|---|



Ersetzen, was fehlt

THERAPIE MIT C1-INH IN DER PRAXIS¹

Da die Ursache von HAE bekannt ist, konnte bereits vor über 40 Jahren eine entsprechende Therapiemöglichkeit entwickelt werden: Das Ersetzen des fehlenden Eiweißes (C1-INH), das bei gesunden Menschen natürlich im Körper vorkommt. Das Eiweiß wird aus humanem Blutplasma gewonnen, aufgereinigt und für die HAE-Therapie eingesetzt. Es ist auch ein rekombinantes Analogon (Conestat alfa, rhC1-INH) des humanen C1-Inhibitors zugelassen.

Zur **Behandlung akuter Attacken** hat sich das Verabreichen des fehlenden Eiweißes seit langem bewährt: Schwellungen klingen nach der Injektion rasch ab und bilden sich innerhalb weniger Stunden zurück.

Seit einigen Jahren sind humane C1-INH-Konzentrate für die **Kurzzeitprophylaxe** zugelassen. Sie werden präventiv verabreicht, um das Risiko von Attacken zu reduzieren, die z. B. durch einen medizinischen Eingriff ausgelöst werden können.

Die Verabreichung von C1-INH-Konzentrat ist auch als **Langzeitprophylaxe** möglich und somit für die Patienten geeignet, die besonders häufig unter schweren Attacken leiden.

Therapieübersicht¹

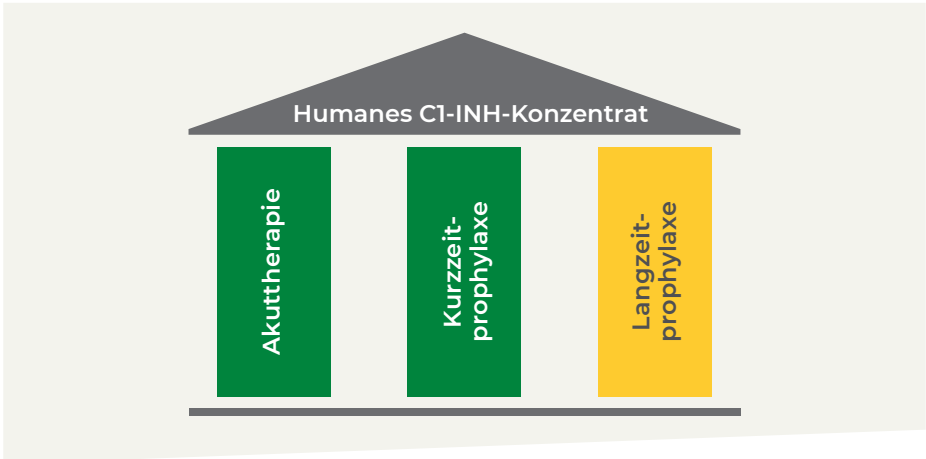


Abb. 2

DAS WIRKPRINZIP VON C1-INH¹

Bei Menschen mit HAE Typ I und Typ II ist das Eiweiß C1-INH nicht ausreichend vorhanden bzw. dessen Funktion eingeschränkt. Dieser Mangel an funktionsfähigem Eiweiß hat zur Folge, dass die Bildung von Bradykinin nicht mehr richtig gesteuert werden kann.

Bradykinin ist ein Gewebshormon, das unter anderem den Blutdruck senkt und die Blutgefäßwände durchlässiger macht. Durch Auslöser wie Stress oder Entzündungen kann das Bradykinin „überkochen“: Aufgrund der fehlenden Regulation durch C1-INH wird zu viel Bradykinin gebildet. Dieses führt dazu, dass Flüssigkeit aus den Blutgefäßen austritt, die sich im Gewebe ansammelt. Das kann zu den typischen HAE-Schwellungsattacken führen.

Die Behandlung, beispielsweise mit humanem C1-INH-Konzentrat, kann diese Reaktion stoppen: C1-INH wirkt wie eine Art Deckel, der das Bradykinin unter Kontrolle hält. In der Akuttherapie können so Schwellungen schnell gelindert werden. Bei der Prophylaxe soll das Entstehen der Schwellungen von vornherein vermieden werden.

HAE Typ I und Typ II: mit und ohne Therapie

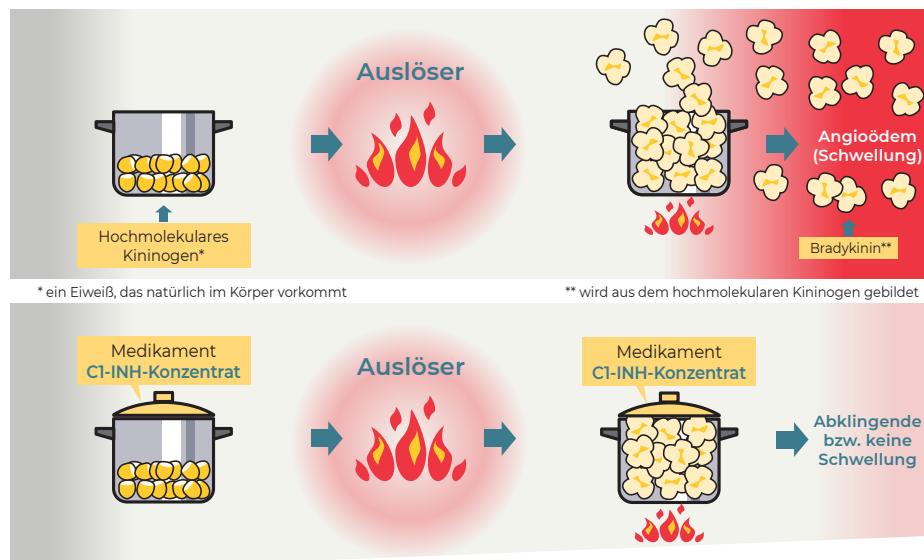


Abb. 3

HAE SELBST BEHANDELN

Sowohl in der Akuttherapie als auch bei der vorbeugenden Behandlung ist es von Vorteil, wenn sich Betroffene ihr Medikament selbst injizieren können: Akute HAE-Attacken verlaufen milder und klingen schneller ab, wenn sie frühzeitig behandelt werden. Bei der Prophylaxe lassen sich durch die Selbsttherapie zuhause häufige Arztbesuche vermeiden.

Weitere Vorteile der Selbstbehandlung sind:

- Fehlzeiten in Schule, Ausbildung und Beruf verringern sich.
- Die Lebensqualität steigt, Patienten können ein nahezu normales Leben führen.
- Die Selbstbehandlung stärkt das Selbstvertrauen der Patienten und kann es unter anderem ermöglichen, auch mit HAE in weiter entfernte Länder zu reisen.
- Die Entscheidung für oder gegen eine häusliche Verabreichung Ihrer HAE-Medikation trifft im Idealfall Ihr behandelnder Arzt gemeinsam mit Ihnen.

¹ Anderson J, Maina N. Reviewing clinical considerations and guidelines recommendations of C1 inhibitor prophylaxis for hereditary angioedema. Clin Transl Allergy. 2022;e12092.
² Bork K et al. Hereditary Angioedema: New Findings Concerning Symptoms, Affected Organs and Course. The American Journal of Medicine (2006) 119, 267-274.

Abb. 1, Abb. 2, Abb. 3 und alle Bilder: © CSL Behring