

Auf dem Weg zur vollständigen Kontrolle des HAE: Eine umfassende Analyse der Lebensqualität und des offenen Bedarfs zur Ermöglichung eines normalen Lebens

Ergebnisse einer 2024 in Deutschland durchgeführten Patientenbefragung

Markus Mager¹, Thomas Buttgereit¹, Inmaculada Martinez-Saguer², Petra Staubach-Renz³, Jens Greve⁴, Lucia Schauf⁵, Kathrin Schön⁵

¹Charité - Universitätsmedizin Berlin, Deutschland. ²HZRM Hämophilie-Zentrum Rhein Main, Frankfurt, Deutschland. ³Universitätsmedizin Mainz, Deutschland. ⁴Universitätsklinikum Ulm, Deutschland. ⁵HAE-Vereinigung e. V., Deutschland.

Grundlage

- Das primäre Therapieziel im Management von HAE ist die Erlangung vollständiger Krankheitskontrolle, um Patienten ein normales Leben zu ermöglichen.¹
- Durch Reduktion von Häufigkeit und Schwere der HAE-Attacken ist es möglich, sowohl die Lebensqualität zu verbessern als auch die emotionale Belastung zu verringern.²
- Trotz verbesserter Therapieoptionen besteht weiterhin der Bedarf, die Einhaltung der Therapieziele im alltäglichen Rahmen zu bewerten.³
- Patientenbefragungen sind eine gute Möglichkeit, die Erfahrungen von Patienten zu erfassen und Lücken in der Therapie zu erkennen.⁴
- Diese 2024 in Deutschland durchgeführte Befragung hatte den Zweck, die Patientenzufriedenheit zu erfassen und Unterschiede zwischen Theorie und Praxis aufzudecken.

Methodik

- Die Umfrage wurde im Mai und Juni 2024 mittels eines gemeinschaftlich von Experten und der HAE-Vereinigung e. V. entwickelten Fragebogens durchgeführt.
- Eine Verfeinerung der Fragestellungen fand vor Veröffentlichung des vollständigen Fragebogens in einer Pilotphase statt.
- Die Rekrutierung von Patienten erfolgte über die Webseite und Social-Media-Kanäle der HAE-Vereinigung e. V. sowie über die Behandlungszentren. Die ausschließliche Teilnahme von HAE-Patienten wurde sichergestellt.
- Die Umfrage bildete vier Bereiche (Lebensqualität mit HAE, Bildbasierte Selbstreflexion, Teilen von Tipps, Therapieevaluation) ab.
- Zum Vergleich verschiedener Therapieformen wurden unabhängige t-Tests angewendet sowie AMNOVA zur Differenzierung der Attackenfrequenz (Einteilung in 0, 1-3 und > 3 Attacken in den letzten 6 Monaten) genutzt.

Ziel

Evaluation, welches Therapieprinzip das Ziel der vollständigen Krankheitskontrolle am besten erreicht, und Identifikation von Faktoren, die Patienten an der Führung eines normalen Lebens hindern.

Ergebnisse

- Am Ende des Befragungszeitraums im Juni 2024 hatten 122 HAE-Patienten teilgenommen.
- Die Charakteristika der teilnehmenden Patienten sind in Tabelle 1 gezeigt.

Physische Auswirkungen

- 32 % der Patienten gaben physische Leistungsminderungen durch ihre Erkrankung an. Die Einschränkungen von Patienten mit On-Demand-Therapie waren dabei größer als von Patienten mit LTP ($p = 0,026$).
- Patienten mit 1-3 Attacken in den vergangenen 6 Monaten erlebten signifikant schwerere physische Belastung als Patienten ohne Attacken ($p < 0,001$).
- Arbeit oder Schule wurde bei attackenfreien Patienten signifikant seltener unterbrochen als bei Patienten mit 1-3 Attacken ($p < 0,001$) und mehr als 3 Attacken in den vergangenen 6 Monaten ($p < 0,001$).

“Die Prophylaxe-Therapie hat mein Leben radikal verändert. Früher habe ich bei der Arbeit vorgearbeitet, um an schlechten Tagen sofort ins Bett gehen zu können. Jetzt bin ich schwelungsfrei und brauche das nicht mehr.”
- Patient ohne Attacken

“Ohne Attacken würde ich freier arbeiten können und besser vorankommen. Dann könnte ich schneller und leichter meine Ziele erreichen.”
- Patient mit 1-3 Attacken

Referenzen

- Maurer, M., et al. (2021). J. Allergy Clin. Immunol.
- Caballero, T., et al. (2023). J. Investig. Allergol. Clin. Immunol.
- Longhurst, H., & Valeriewa, A. (2023). J. Asthma Allergy
- Anderson, J. T., et al. (2021). J. Allergy Asthma Clin. Immunol.

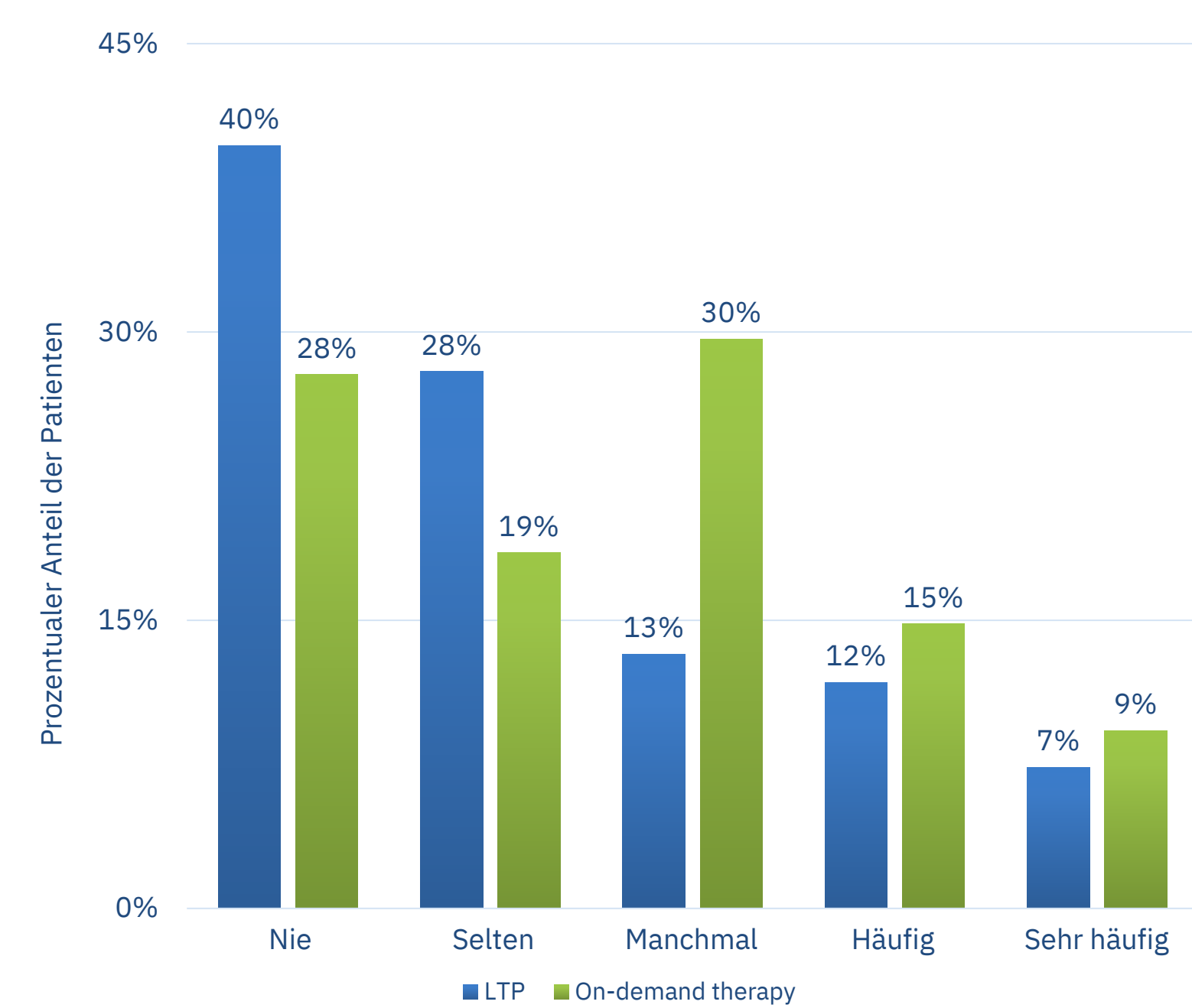
HAE-Management

- Obwohl 80 % der Patienten mit ihrer Therapie zufrieden sind, bleibt die vollständige Krankheitskontrolle schwierig.
- In den letzten 6 Monaten waren insgesamt 31 % der Patienten attackenfrei, während 28 % 1-3 Attacken und 41 % mehr als 3 Attacken erlebten. Der Median für die Attackenfrequenz lag im Vergleich zwischen Patienten unter On-Demand-Therapie und mit LTP bei 6,5 vs. 2,0.
- Nur 17 % der Patienten, die ausschließlich On-Demand-Therapie nutzten, waren attackenfrei, während 43 % der mit LTP behandelten Patienten keine Attacken hatten. Dies zeigt einen signifikanten Unterschied zwischen den beiden Therapieoptionen ($p < 0,001$).

Emotionale Auswirkungen

- Patienten, die nur mittels On-Demand-Therapie behandelt wurden, berichteten von erhöhten Angstzuständen, und mehr als die Hälfte dieser Patienten äußerte die Sorge vor unerwarteten Attacken.
- Im Gegensatz dazu gaben 45 % der Patienten mit LTP an, keine Angst vor unerwarteten Attacken zu haben, was auf eine verbesserte emotionale Stabilität unter LTP hindeutet.
- Im Vergleich mit Patienten mit 1-3 Attacken und Patienten mit mehr als 3 Attacken waren attackenfreie Patienten signifikant geringer durch HAE belastet ($p < 0,001$).

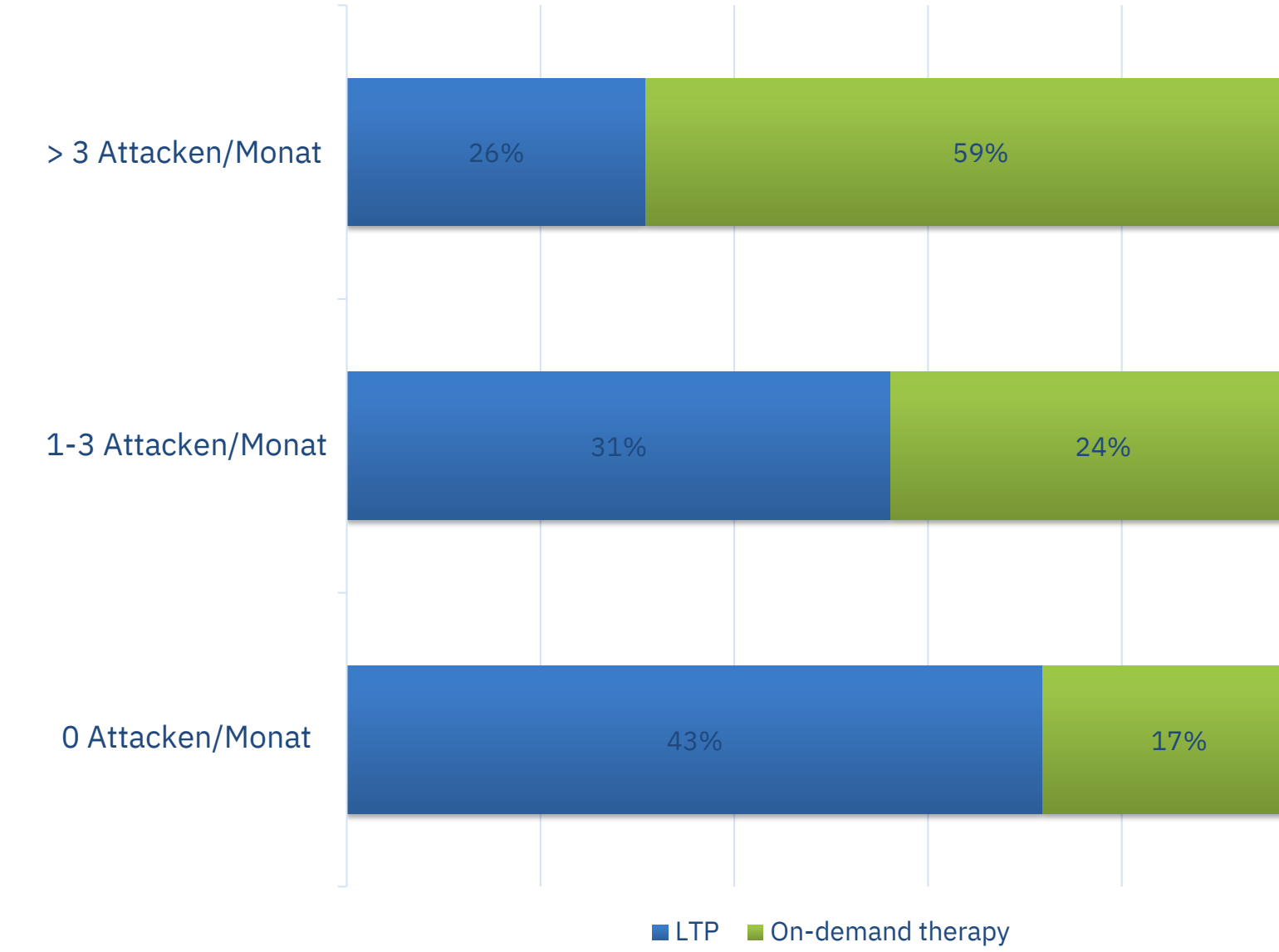
Abbildung 2. Angst vor unerwarteten Attacken bei Patienten mit LTP vs. On-Demand-Therapie



Interessenskonflikte

Diese Umfrage wurde von der CSL Behring GmbH finanziert. Alle Autoren erfüllen die ICMJE-Kriterien für eine Autorenschaft und hatten vollständigen Zugriff auf alle Daten. Die Autoren hatten vollständige Kontrolle über die hier präsentierten Daten und haben ihre Zustimmung zur finalen Darstellung gegeben. Für die Autorenschaft wurden weder Honorare noch sonstige Gelder gezahlt.

Abbildung 1. Anzahl Attacken in den letzten 6 Monaten mit LTP vs. On-Demand-Therapie



Soziale Auswirkungen

- Patienten mit mehr als 3 Attacken in den vergangenen 6 Monaten fühlten sich signifikant häufiger unwohl in der Öffentlichkeit und vermieden häufiger gesellschaftliche Ereignisse als Patienten mit weniger Attacken ($p < 0,001$).
- Bereits Patienten mit 1-3 Attacken in den vergangenen 6 Monaten gaben signifikant häufiger an, auf gesellschaftliche Ereignisse verzichten zu haben, als Patienten ohne Attacken ($p < 0,001$).

Schlussfolgerungen

- Patienten sind insgesamt zufrieden mit der Therapie ihres HAE, dank der Wirksamkeit der zugelassenen Therapien und durch das Vertrauen in die Behandlung von Durchbruchsattacken.
- Vollständige Krankheitskontrolle führte bei attackenfreien Patienten zu signifikant besseren Resultaten über alle untersuchten Domänen im Vergleich zu Patienten mit 1-3 Attacken oder mehr als 3 Attacken.
- Es bedarf einer kontinuierlichen Anpassung von Therapieplänen, um neben dem medizinischen Bedarf auch den persönlichen Wünschen sowie der Lebensqualität der Patienten gerecht zu werden.
- Die Ergebnisse sind limitiert durch Rekrutierungsprozess und Selektion der befragten Population.

Abbildung 3. Beschreibung des Einflusses von HAE und Therapie durch Patienten

“Von dem Moment an, in dem ich beschlossen habe, mich an der Entwicklung eines neuen Medikaments zu beteiligen, hat sich mein Leben verändert. Ich fühle mich, als wäre ich wiedergeboren. Ich kann tun und lassen, was ich will, ohne Angst, dass ich möglicherweise einen HAE-Anfall bekomme.”

“Dank ausführlicher Aufklärung und Therapie konnten wir eine Familie gründen, wovon wir früher nur träumen konnten.”

“Mein Leben fühlt sich wieder normal an – ich muss nicht mehr ständig mit der nächsten Attacke rechnen. Jetzt kann ich jeden Moment wirklich genießen.”

“Ich akzeptiere meinen „Freund“ HAE - ich richte mein Leben und Alltag ein - trotz der Angst und der Vorsicht einer Belastung.”

“Von 4-6 Attacken im Monat bin ich jetzt völlig symptomfrei – manchmal vergesse ich sogar, dass ich HAE habe. Diese Behandlung hat mir mein Leben zurückgegeben.”

“Die Attacken kommen oft unvorhergesehen - das Medikament hilft mir, zu vertrauen - um den Lebensalltag bewältigen zu können, trotz der Angst vor neuen Attacken.”

“Das Leben geht weiter. Und wenn man sich selbst spritzen kann, man quasi auf nichts Rücksicht nehmen muss, weil man sich ja bei ersten Anzeichen direkt selbst behandeln kann.”

“Ich muss keine Angst mehr haben, dass unvorhergesehen etwas passiert, sondern kann auf meine Therapie und meinen Körper vertrauen.”

“Ich fühle mich viel freier und entspannter, selbst in stressigen Situationen. Vorbereitet zu sein, gibt mir ein Gefühl von Komfort und Sicherheit.”