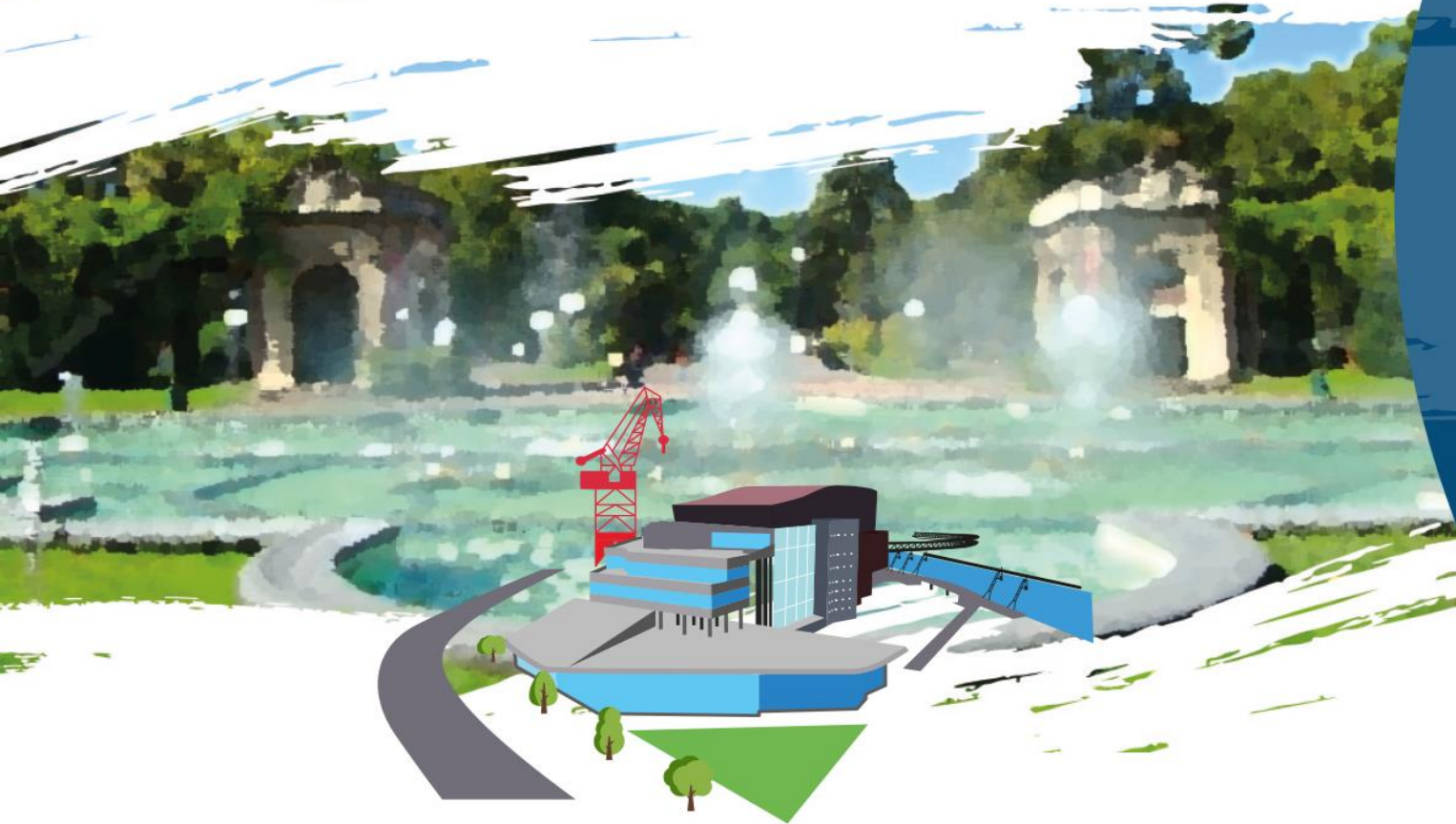


# Simposio internacional

Enfermedades alérgicas  
de riesgo vital



**6 al 9 Nov. 2024**

**Palacio de Congresos y de la Música Euskalduna**

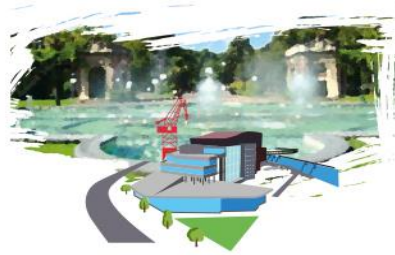
BILBAO 2024  
BILBAO 2024  
BILBAO 2024  
BILBAO 2024



sociedad española  
de alergología  
e inmunología clínica  
[www.seaic.org](http://www.seaic.org)



seaic  
fundación  
[www.seaic.org](http://www.seaic.org)



# Investigación de la carga de la enfermedad en personas que viven con angioedema hereditario y sus cuidadores en Europa

**Teresa Caballero<sup>1</sup>, Mar Guilarte<sup>2</sup>, Ramón Leonart<sup>3</sup>, Markus Magerl<sup>4,5</sup>,  
Kieran Wynne-Cattanach<sup>6</sup>, Joan Mendivil<sup>7</sup>**

<sup>1</sup>Hospital Universitario La Paz, Servicio de Alergología, Instituto de Investigación Sanitaria Hospital Universitario La Paz (IdiPAZ), Red de Investigación Biomédica en Enfermedades Raras (CIBERER, U754), Madrid, España

<sup>2</sup>Hospital Universitario Vall d'Hebron, Servicio de Alergología, Departamento de Medicina Interna, Barcelona, España

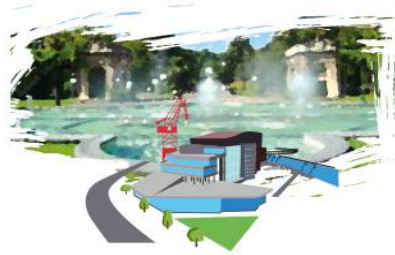
<sup>3</sup>Bellvitge Hospital Universitario, L'Hospitalet de Llobregat, Servicio de Alergología, Barcelona, España

<sup>4</sup>Instituto de Alergología, Charité - Universitätsmedizin Berlin, miembro corporativo de la Freie Universität Berlin y la Humboldt-Universität zu Berlin, Berlín, Alemania

<sup>5</sup>Instituto Fraunhofer de Medicina Traslacional y farmacología ITMP, Inmunología y Alergología, Berlín, Alemania

<sup>6</sup>Adelphi Real World, Bollington, Reino Unido

<sup>7</sup>Pharvaris, Gesellschaft mit beschränkter Haftung, Zug, Suiza



Subvenciones/apoyo a la investigación, honorarios o tarifas de asesoría, panel de conferenciantes patrocinado

**T.C.:** Astria, BioCryst, CSL Behring, KalVista, Novartis, Pharming, Pharvaris, Takeda; investigador del programa IdiPAZ para la promoción de actividades de investigación; **M.G.:** BioCryst, CSL Behring, Novartis, Pharming, Pharvaris, Takeda; **R.L.:** BioCryst, CSL Behring, Ionis, KalVista, Novartis, Pharming, Pharvaris, Takeda; **A.Z.:** BioCryst, CSL Behring, KalVista, Pharming, Takeda; **M.M.:** BioCryst, CSL Behring, Intellia, KalVista, Novartis, Octapharma, Pharming, Pharvaris, Takeda; **K.W-C.:** empleado de Adelphi Real World; **J.M.:** empleado de Pharvaris, tiene acciones en Pharvaris.

**Agradecimientos:** Elizabeth Kukielka, PharmD, MWC<sup>®</sup>, de Two Labs Pharma Services, proporcionó servicios de redacción médica.

**Declaración de financiación:** La financiación para este estudio la proporcionó Pharvaris; Adelphi Real World conserva la propiedad de estos datos.

# Introducción

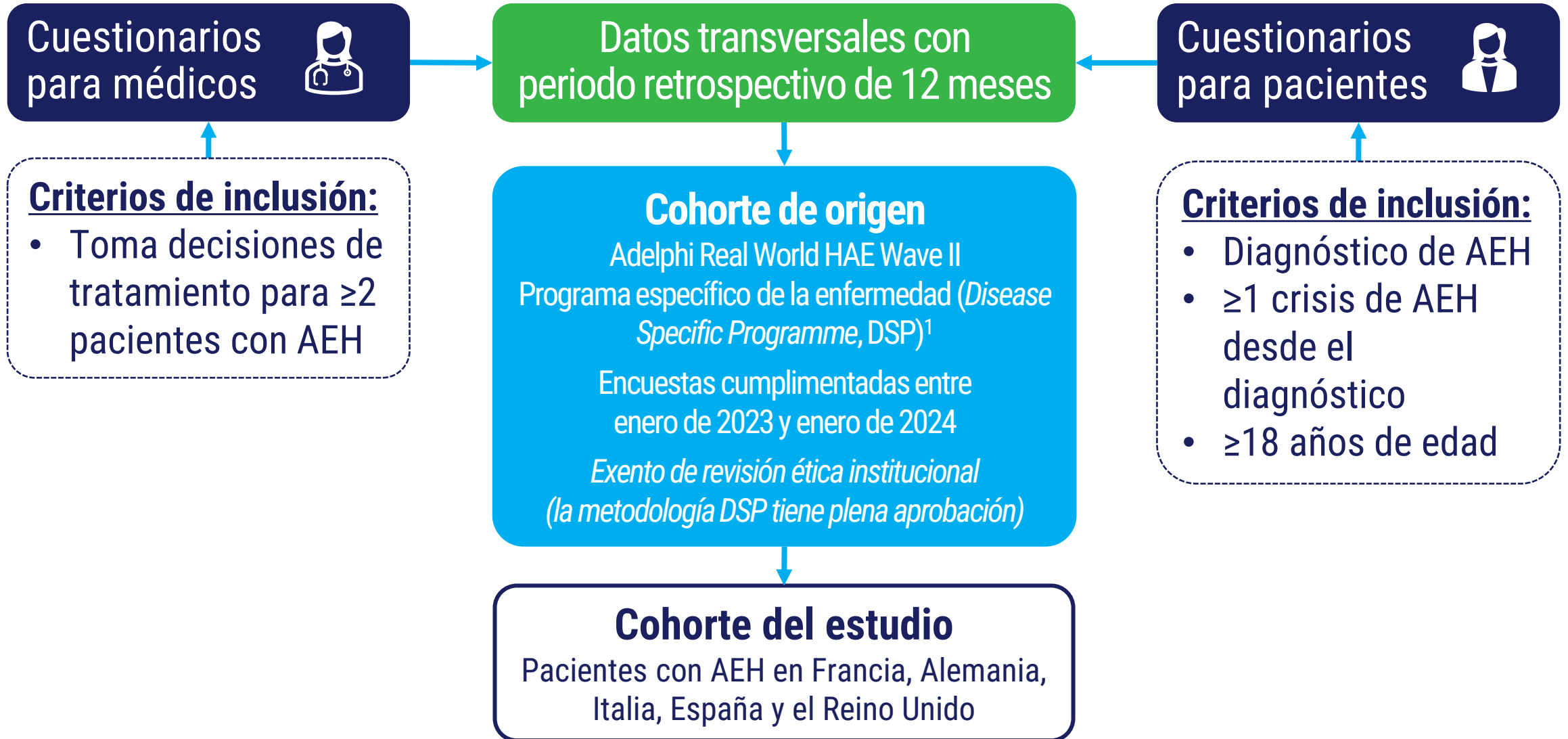
- El angioedema hereditario (AEH) es una enfermedad genética rara que se caracteriza por crisis de inflamación dolorosas y, a menudo, debilitantes que pueden afectar a múltiples zonas del cuerpo.<sup>1,2</sup>
- La necesidad de apoyo por parte de cuidadores entre las personas con AEH no se ha estudiado ampliamente en la literatura médica y no se conocen bien las necesidades de dicha atención.

---

## Objetivos del análisis:

- Examinar las necesidades de apoyo por parte de cuidadores entre las personas que viven con AEH en algunos países europeos, así como el impacto de la afección en su calidad de vida relacionada con la salud (CdVRS) y la capacidad para trabajar.

# Metodología del Disease Specific Programme™ (DSP™)



# Métodos: formularios de autonotificación del paciente

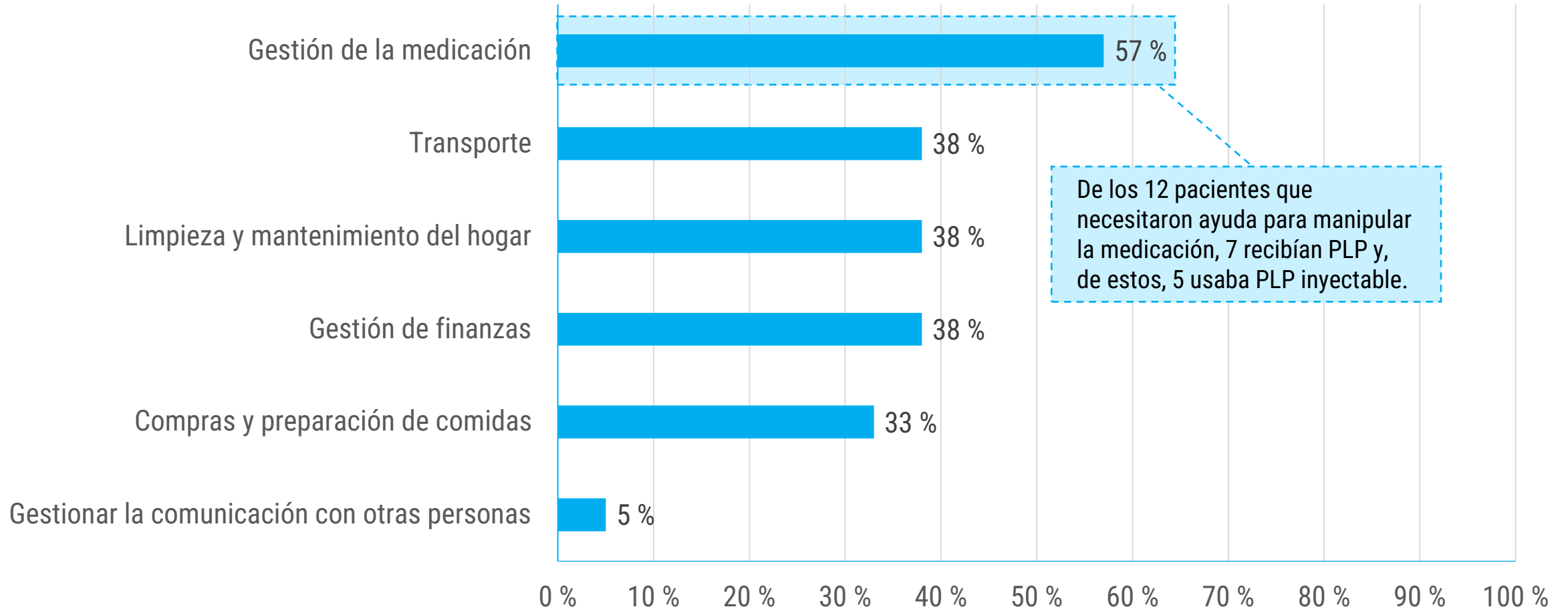
- **Cuestionario de deterioro de la actividad y la productividad laboral: problema de salud específico** (*Work Productivity and Activity Impairment Questionnaire, WPAI:SHP*)<sup>1</sup>: las puntuaciones más altas indican un mayor porcentaje de deterioro laboral.
- **Escala visual analógica del cuestionario EQ-5D**<sup>2</sup>: registra el estado de salud general y la capacidad funcional con una puntuación de 0, “la peor salud que se pueda imaginar”, a 100, “la mejor salud que se pueda imaginar”.
- **Cuestionario EQ-5D-5L**<sup>3</sup>: mide la gravedad de los problemas de movilidad, cuidado personal, actividades cotidianas, dolor/molestias y ansiedad/depresión con una puntuación de 0, “mala salud”, a 1, “buena salud” (en relación con la ponderación para España, que es un conjunto de valores representativos de la población adulta general en España<sup>4</sup>).
- **Cuestionario de calidad de vida en el angioedema (AE-QoL)**<sup>5,6</sup>: instrumento validado para su uso en el AEH que evalúa el impacto de la enfermedad en 4 dominios, que incluye “capacidad funcional”, con una puntuación de 0 a 100, donde las puntuaciones más altas indican un mayor deterioro.

# Datos demográficos y características clínicas iniciales notificadas por el paciente

	Pacientes sin apoyo por parte de un cuidador		Pacientes con apoyo por parte de un cuidador	
	Europa <sup>a</sup> (n = 141)	España (n = 30)	Europa <sup>a</sup> (n = 46)	España (n = 5)
<b>Edad (años), media ± DE [intervalo]</b>	33,8 ± 13,2 [18–80]	41,1 ± 13,5 [19–80]	30,9 ± 12,1 [19–68]	26,8 ± 12,2 [19–48]
<b>Mujeres, n (%)</b>	71 (50)	15 (50)	23 (50)	3 (60)
<b>Tipo de AEH, n (%)</b>				
Tipo 1	100 (71)	24 (80)	41 (89)	2 (40)
Tipo 2	34 (24)	3 (10)	3 (7)	3 (60)
AEH con C1-INH normal	7 (5)	3 (10)	2 (4)	0 (0)
<b>Tratamiento actual para el AEH, n (%)</b>				
Le prescribieron algún TAD y PLP oral	23 (16)	9 (30)	3 (7)	1 (20)
Le prescribieron algún TAD	109 (77)	25 (83)	37 (80)	3 (60)
Le prescribieron alguna PLP	78 (55)	27 (90)	20 (43)	4 (80)
No se le ha prescrito ningún tratamiento actualmente	3 (2)	0 (0)	3 (7)	0 (0)
<b>PLP por vía de administración, n (%)</b>	<b>(n = 78)</b>	<b>(n = 27)</b>	<b>(n = 20)</b>	<b>(n = 4)</b>
PLP inyectable	35 (45)	13 (48)	7 (35)	3 (75)
PLP oral	43 (55)	14 (52)	13 (65)	1 (25)

C1-INH, inhibidor de C1; AEH, angioedema hereditario; PLP, profilaxis a largo plazo; TAD, tratamiento a demanda; DE, desviación estándar. <sup>a</sup> Europa incluye Francia, Alemania, Italia, España y el Reino Unido.

# Los pacientes que necesitaron apoyo por parte de un cuidador necesitaron más a menudo ayuda para gestionar la medicación<sup>a</sup>

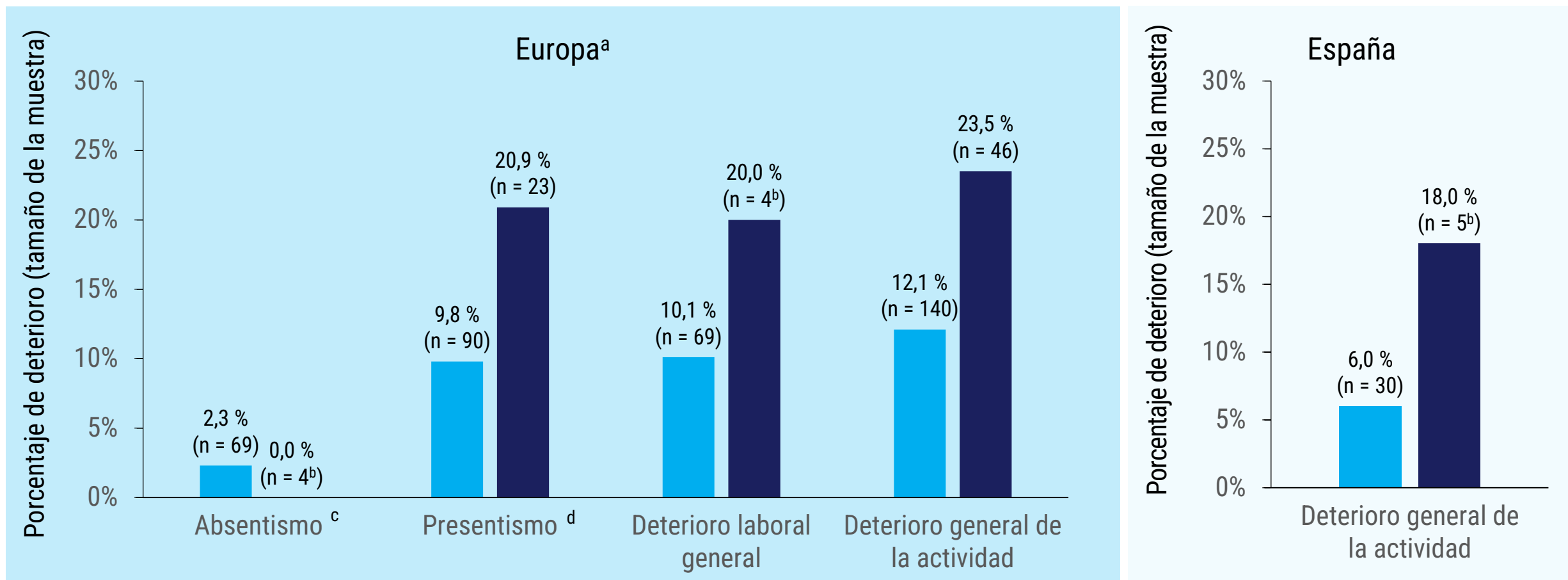


<sup>a</sup> n = 21 evaluaciones de las actividades de la vida diaria notificadas por el médico.



# El deterioro laboral general fue mayor entre los pacientes con apoyo por parte de cuidadores que entre los pacientes independientes

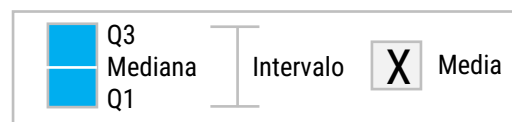
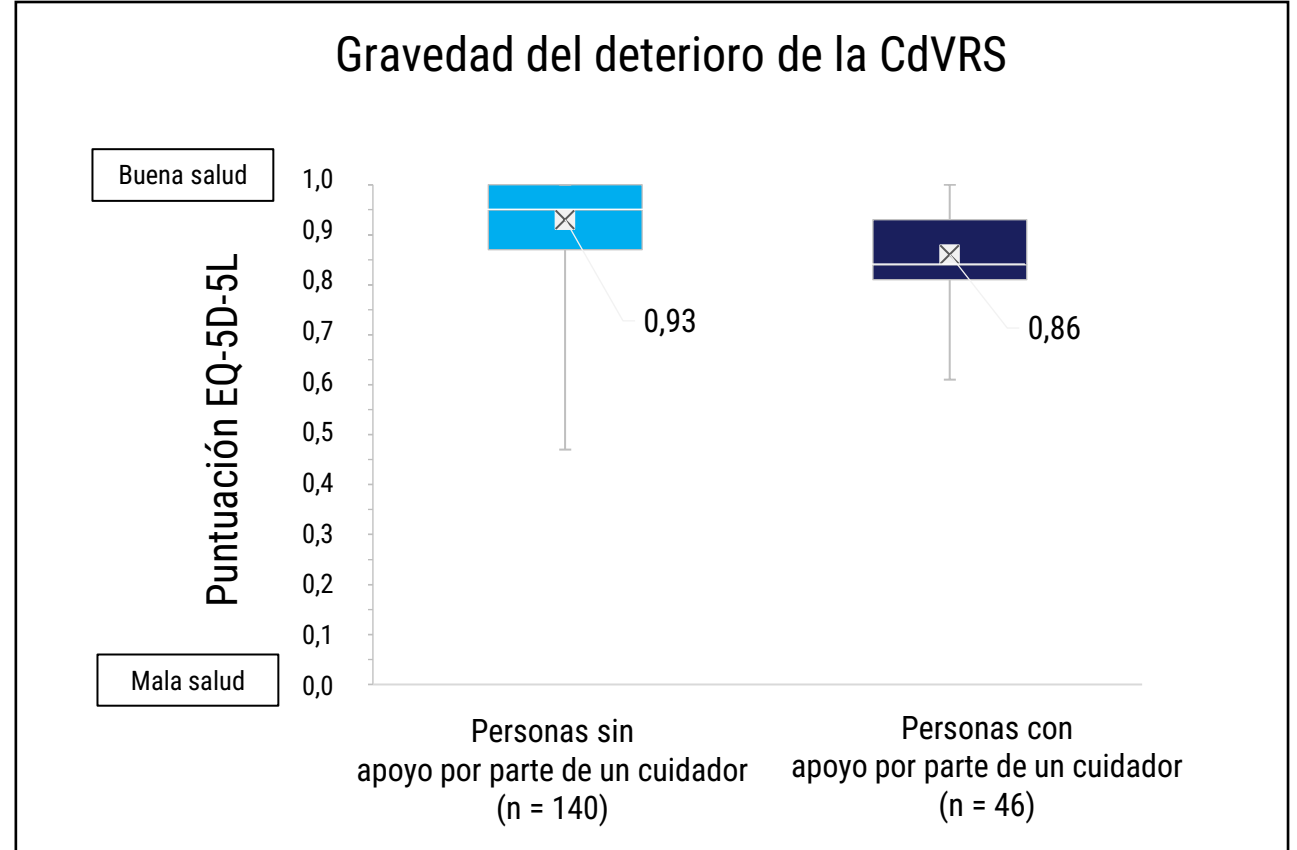
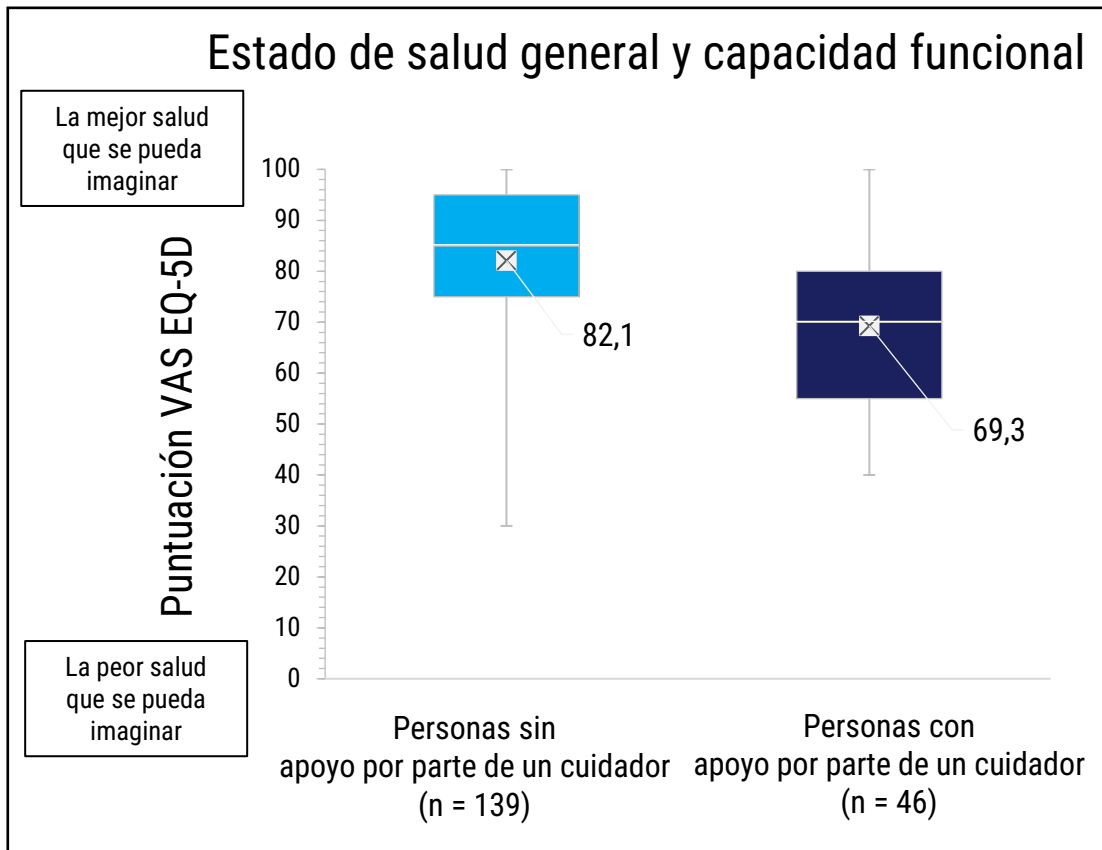
■ Pacientes sin apoyo por parte de un cuidador ■ Pacientes con apoyo por parte de un cuidador



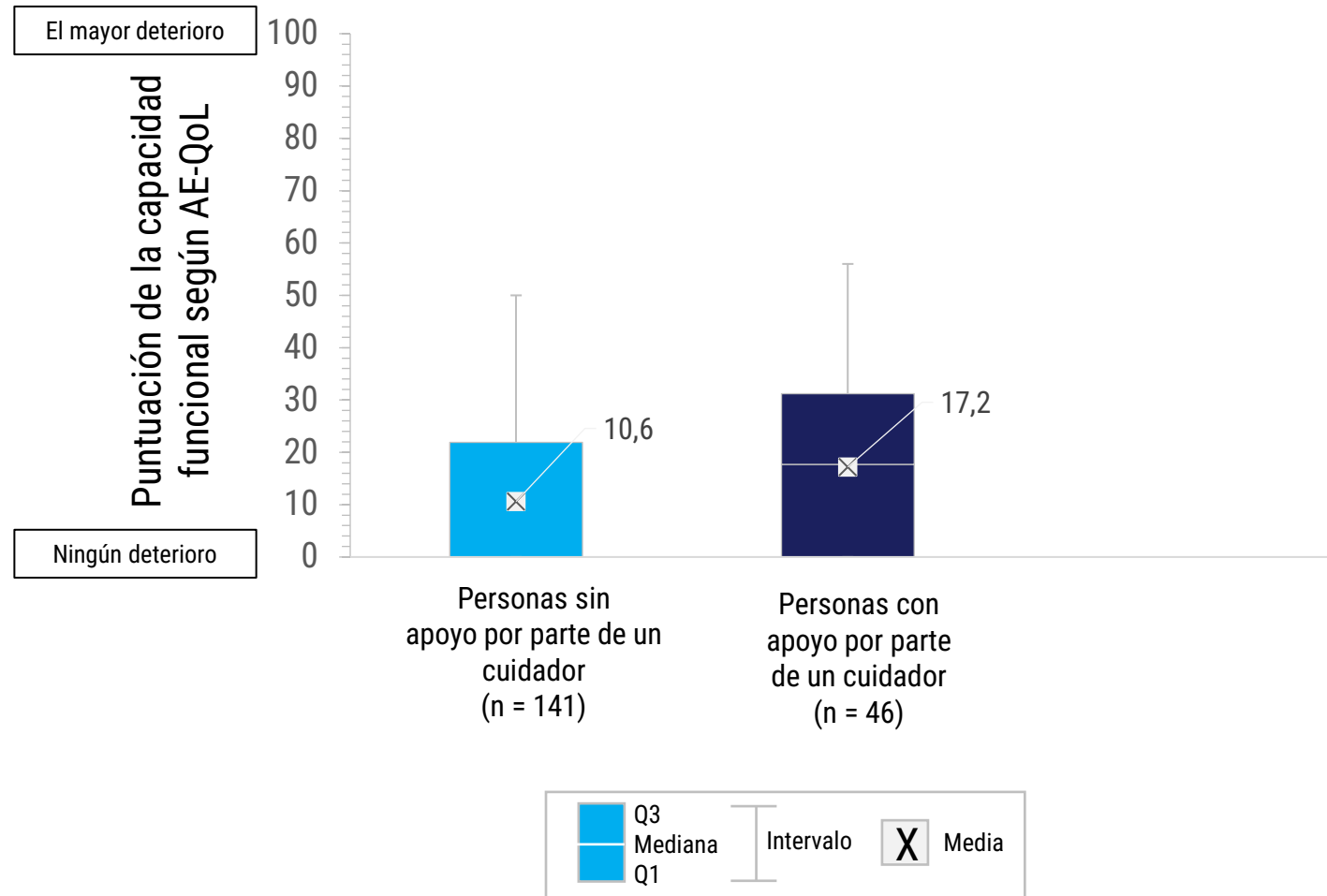
AEH, angioedema hereditario. <sup>a</sup> Europa incluye Francia, Alemania, Italia, España y el Reino Unido. <sup>b</sup> Número de base bajo. <sup>c</sup> El absentismo se definió como el porcentaje del tiempo de trabajo perdido debido al AEH.

<sup>d</sup> El presentismo se definió como el porcentaje de deterioro durante el trabajo debido al AEH.

# Los pacientes con apoyo por parte de un cuidador notificaron una peor CdVRS que los pacientes independientes



# Los pacientes que necesitaron apoyo por parte de un cuidador notificaron una peor capacidad funcional que los pacientes independientes



# Conclusiones

- En este estudio, las personas con AEH con una mayor necesidad de apoyo por parte de un cuidador notificaron un deterioro significativo de la actividad laboral y una reducción de la CdVRS.
- La gestión de la medicación fue un factor importante en la necesidad de apoyo por parte de un cuidador para las personas que viven con AEH en algunos países europeos.

Los autores y los promotores agradecen a todas las personas con AEH y a sus médicos que participaron en el estudio HAE Wave II DSP.