

Nº de póster: 271

# Angioedema adquirido por deficiencia del inhibidor de C1: Modelo conceptual de la experiencia del paciente y evaluación de los resultados notificados por el paciente

Teresa Caballero<sup>1</sup>, Danny M. Cohn<sup>2</sup>, Marc A. Riedl<sup>3</sup>, Andrea Zanichelli<sup>4,5</sup>, Joan Mendivil<sup>6</sup>

<sup>1</sup>Hospital Universitario La Paz, Department of Allergy, Hospital La Paz Institute for Health Research (IdiPAZ), Biomedical Research Network on Rare Diseases (CIBERER, U754), Madrid, España; <sup>2</sup>Amsterdam UMC, University of Amsterdam, Amsterdam Cardiovascular Sciences, Amsterdam, Países Bajos; <sup>3</sup>University of California San Diego, La Jolla, CA, Estados Unidos; <sup>4</sup>Universita degli Studi di Milano, Salute, Milan, Italia; <sup>5</sup>IRCCS, Policlinico San Donato, Centro Angioedema, UO Medicina, Milan, Italia; <sup>6</sup>Pharvaris GmbH, Zug, Suiza

## Conclusiones principales

Estos resultados sirven de base para un nuevo modelo conceptual centrado en el paciente para el angioedema adquirido por deficiencia del inhibidor de C1 (AEA-C1INH). Las entrevistas cognitivas revelaron que los ítems de evaluación e impresión global del paciente eran relevantes y fáciles de interpretar por los pacientes.

**Laguna de conocimiento**

No hay herramientas de resultados notificados por el paciente validadas para el AEA-C1INH

**¿Qué es lo nuevo?**

Se desarrolló un modelo conceptual de enfermedad para el AEA-C1INH

**100%** de los participantes interpretaron correctamente la PGI-C para evaluar los síntomas de la crisis de AEA-C1INH

**100%** de los participantes interpretaron correctamente la PGI-S para evaluar los síntomas de la crisis de AEA-C1INH

## Antecedentes

- Angioedema adquirido por deficiencia del inhibidor de C1 (AEA-C1INH):** Enfermedad rara mediada por la bradícina y caracterizada por crisis edematosas dolorosas e impredecibles<sup>1-3</sup>.
- Tratamientos:** No hay tratamientos aprobados para las crisis de AEA-C1INH<sup>1,2</sup>.
- Herramientas de resultados notificados por el paciente (RNP):** No hay herramientas de RNP validadas para su uso en el AEA-C1INH.
- Estudio:** Para abordar esta laguna de conocimiento, presentamos los resultados de un estudio de obtención de conceptos y entrevista cognitiva combinadas que evalúa la experiencia de los pacientes con AEA-C1INH en la vida real.

## Métodos

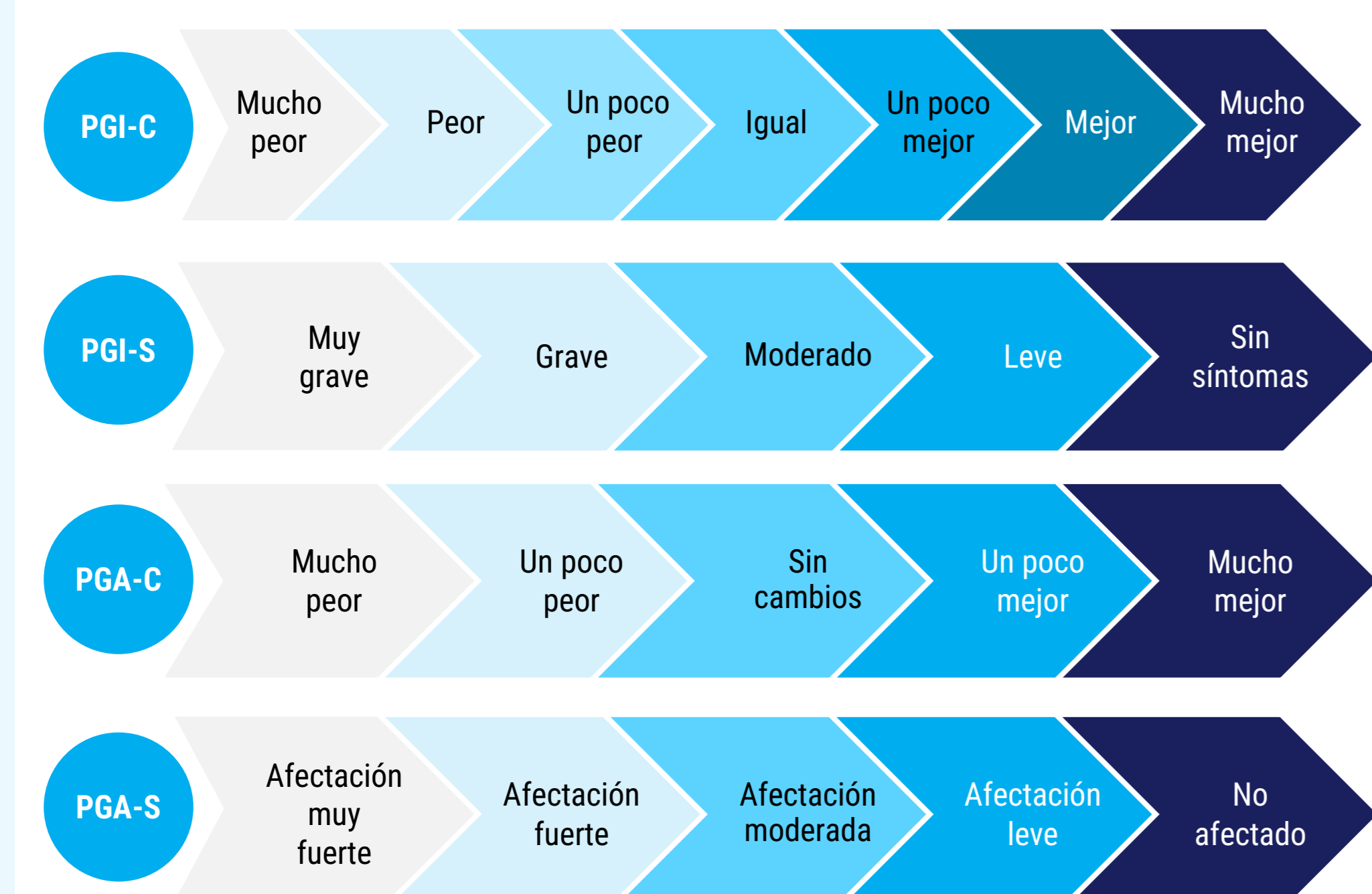
### Obtención de conceptos (OC)

- Objetivo:** Desarrollar un modelo conceptual del AEA-C1INH que pueda revelar conceptos importantes sobre la enfermedad que respalden una estrategia de evaluación de los resultados clínicos.
- Enfoque:** Guía de entrevistas semiestructuradas con preguntas abiertas, para obtener de los pacientes descripciones de las manifestaciones del AEA-C1INH y su impacto.
- Análisis:** Se utilizaron principios de análisis temático<sup>4-5</sup> con características de teoría fundamentada<sup>6,7</sup>.
  - Se desarrolló una cuadrícula de saturación de conceptos relacionada con las crisis de AEA-C1INH según lo notificado por los pacientes<sup>8</sup>.
  - Se utilizaron los datos de las entrevistas analizadas para desarrollar un modelo conceptual de AEA-C1INH.

### Entrevistas cognitivas

- Objetivo:** Explorar y confirmar la relevancia de adaptar al AEA-C1INH los ítems validados de RNP para el angioedema hereditario (AEH)<sup>9,12</sup>, otra enfermedad mediada por la bradícina con manifestaciones clínicas similares.
- Enfoque:** Preguntas estructuradas para evaluar la comprensión y la relevancia de la impresión global del paciente sobre el cambio (PGI-C), la PGI sobre la gravedad (PGI-S), la evaluación global del paciente sobre el cambio (PGA-C) y la PGA sobre el estado (PGA-S).
- Análisis:** Los datos de las entrevistas cognitivas se analizaron con un enfoque de análisis de contenido, centrándose en el análisis a nivel de ítem y en la identificación de problemas asociados con la interpretación, el recuerdo y la claridad. También se evaluó la relevancia para la experiencia del paciente del AEA-C1INH junto con las percepciones de los participantes de cambios significativos en los síntomas y los impactos en relación con las medidas.
- Evaluaciones de RNP:** Se evaluaron la comprensión, la interpretación y la percepción de los participantes de un cambio significativo en 4 evaluaciones de RNP.

Figura 1. Escalas de evaluación de RNP



PGA-C: evaluación global del paciente sobre el cambio; PGA-S: evaluación global del paciente sobre el estado; PGI-C: impresión global del paciente sobre el cambio; PGI-S: impresión global del paciente sobre la gravedad; RNP: resultado notificado por el paciente.

## Resultados

### Participantes

- Se incluyó a ocho adultos con AEA-C1INH en Estados Unidos que completaron el estudio.

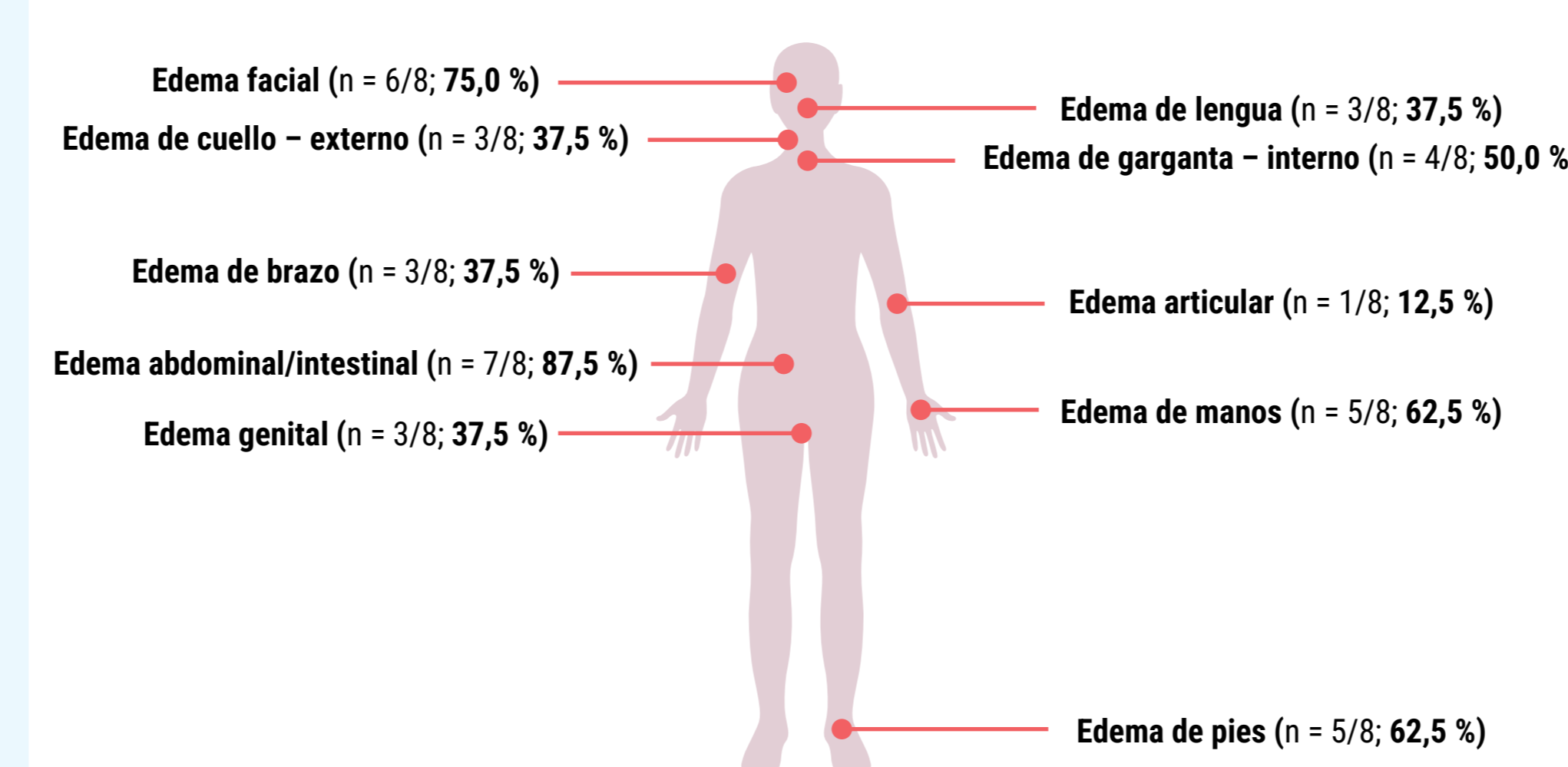
Media de edad (intervalo); DE	67,6 años (48-77); 9,2
Sexo, n (%)	
Mujer	7 (87,5 %)
Hombre	1 (12,5 %)
Raza/etnia, n (%)	
Blanca	8 (100 %)
Media de edad al inicio de los síntomas (intervalo); DE	55,9 años (48-68); 7,1
Media de edad en el momento del diagnóstico (intervalo); DE	57 años (48-68); 9,4
Número medio de crisis en las últimas 12 semanas (intervalo); DE	5,5 (0-30); 10,0
Tratamientos para el AEA-C1INH – Prescritos*, n (%)	
Icatibant (30 mg/3 ml, según sea necesario)	7 (87,5 %)
Berotrastat (150 mg, una vez al día)	2 (25,0 %)
Lanadelumab (300 mg/2 ml, cada 2 semanas)	2 (25,0 %)
Inhibidor de la esterasa C1 humana (dosis desconocida, antes de procedimientos dentales)	1 (12,5 %)
Danazol (dosis desconocida, antes de procedimientos dentales)	1 (12,5 %)
Inhibidor de esterasa C1 recombinante (2100 unidades, antes de los procedimientos médicos)	1 (12,5 %)
Afecciones subyacentes, n (%)	
Gammopatía monoclonal de significado incierto (GMSI)	3 (37,5 %)
Miastenia grave	1 (12,5 %)
Cáncer de mama (en remisión)	1 (12,5 %)
Leucemia linfocítica crónica (LLC)	1 (12,5 %)
Linfoma con resultado de las pruebas negativo	1 (12,5 %)
Trastorno linfoproliferativo de linfocitos B	1 (12,5 %)

AEA-C1INH: angioedema adquirido por deficiencia del inhibidor de C1; DE: desviación estándar. \*Prescrito por los médicos para una indicación no autorizada.

### Áreas de crisis

- Los participantes refirieron 10 áreas únicas de crisis; número medio (DE) de crisis en las últimas 12 semanas 5,5 (10,0).

Figura 1. Áreas de crisis de AEA-C1INH descritas por los participantes

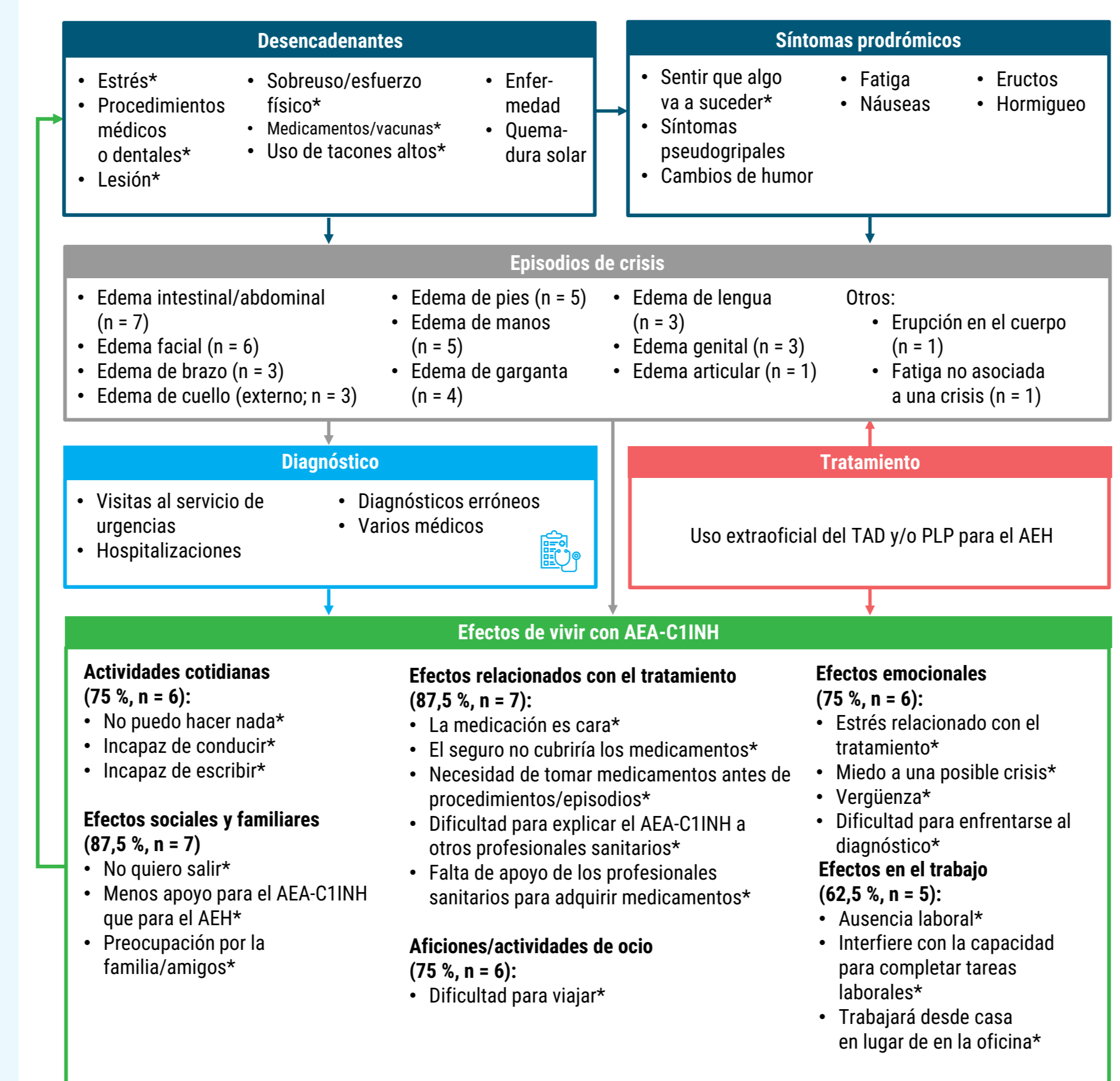


AEA-C1INH: angioedema adquirido por deficiencia del inhibidor de C1.

### Modelo conceptual

- Los conceptos enumerados en este modelo no son exhaustivos.

Figura 2. Modelo conceptual de AEA-C1INH



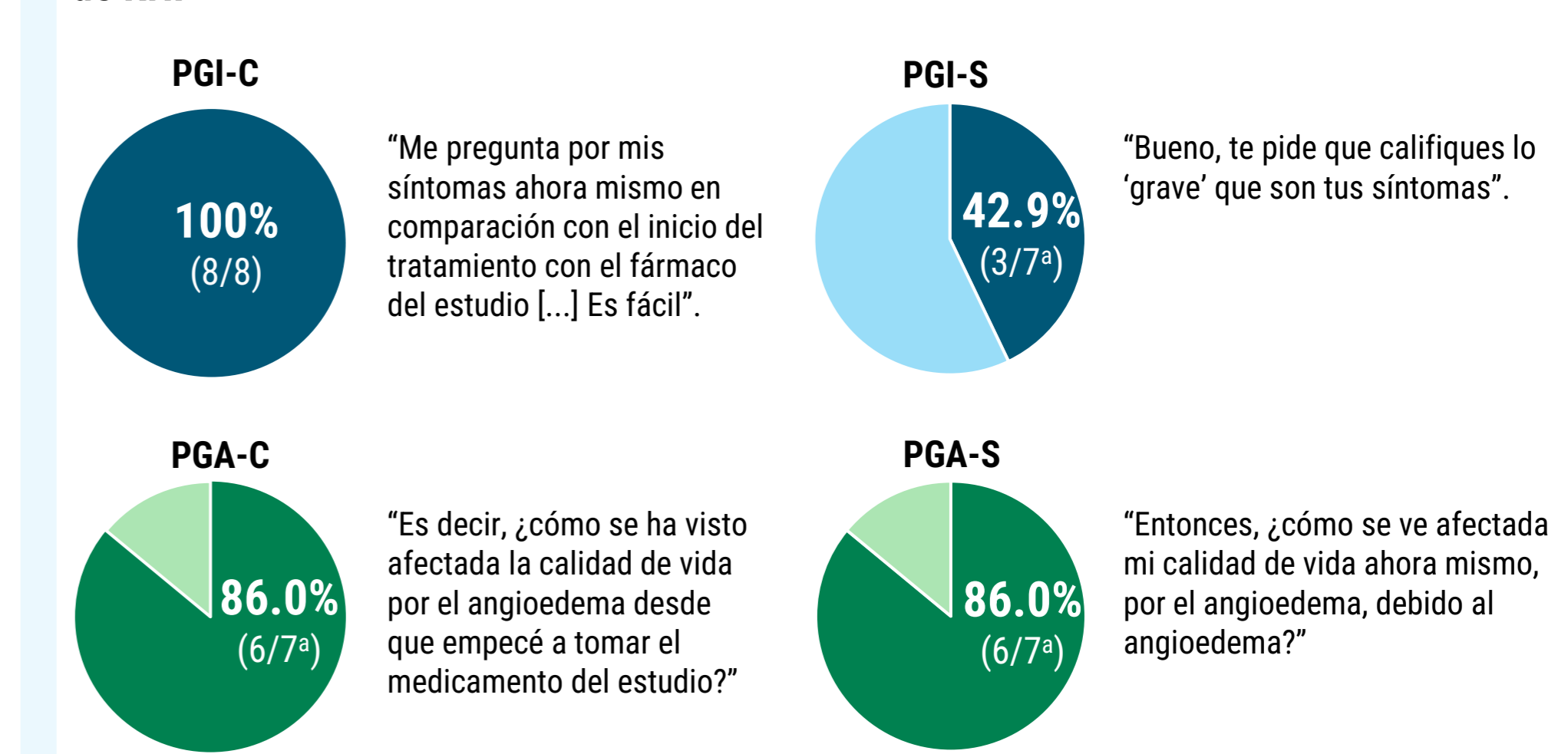
\*Indica la mención en ≥2 personas. AEA-C1INH: angioedema adquirido por deficiencia del inhibidor de C1; AEH: angioedema hereditario; PLP: profilaxis a largo plazo; TAD: tratamiento a demanda.

## Resultados

### Evaluación de los RNP

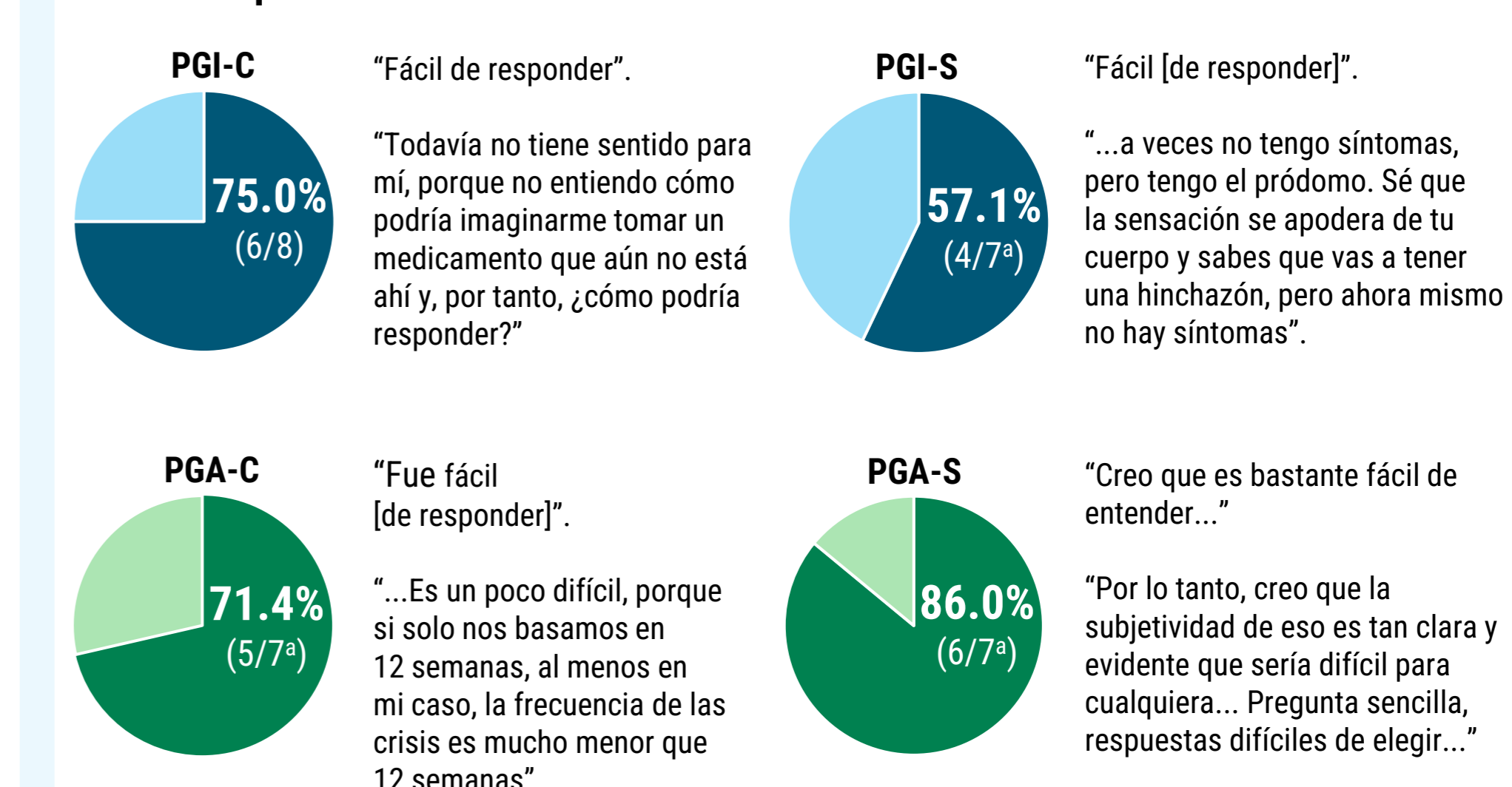
- La mayoría de los participantes interpretaron correctamente las escalas PGI-C, PGA-C y PGA-S (Figura 3) y >50 % consideraron los cuatro ítems fáciles de responder (Figura 4).
- Hasta 4 horas después del tratamiento, los participantes percibieron "mejor" y "1 nivel de cambio" como un cambio significativo para PGI-C y PGI-S, respectivamente (Figura 5).

Figura 3. Porcentaje de participantes que interpretaron correctamente cada evaluación de RNP



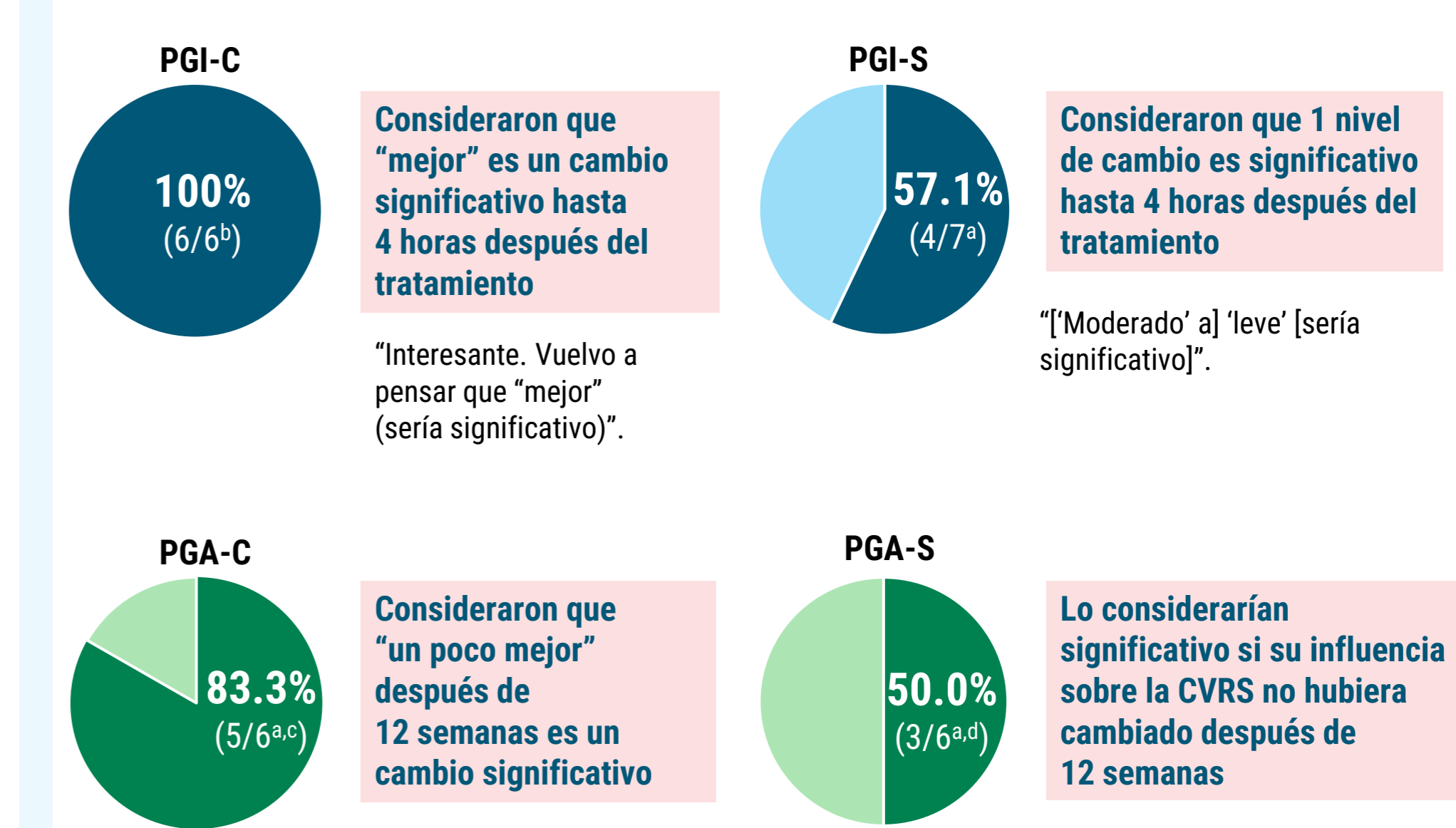
PGA-C: evaluación global del paciente sobre el cambio; PGA-S: evaluación global del paciente sobre el estado; PGI-C: impresión global del paciente sobre el cambio; PGI-S: impresión global del paciente sobre la gravedad; RNP: resultado notificado por el paciente. \*Un participante no pudo completar las evaluaciones de PGI-S, PGA-C y PGA-S debido a limitaciones de tiempo.

Figura 4. Porcentaje de participantes que consideraron que cada evaluación de RNP era fácil de responder



PGA-C: evaluación global del paciente sobre el cambio; PGA-S: evaluación global del paciente sobre el estado; PGI-C: impresión global del paciente sobre el cambio; PGI-S: impresión global del paciente sobre la gravedad; RNP: resultado notificado por el paciente. \*Un participante no pudo completar las evaluaciones de PGI-S, PGA-C y PGA-S debido a limitaciones de tiempo.

Figura 5. Percepción de los participantes de un cambio significativo en cada evaluación de RNP



CVRS: calidad de vida relacionada con la salud; PGA-C: evaluación global del paciente sobre el cambio; PGA-S: evaluación global del paciente sobre el estado; PGI-C: impresión global del paciente sobre el cambio; PGI-S: impresión global del paciente sobre la gravedad; RNP: resultado notificado por el paciente. \*Un participante no pudo completar las evaluaciones de PGI-S, PGA-C y PGA-S debido a limitaciones de tiempo. †Dos participantes no se preguntaron si "mejor" sería un cambio significativo porque creían que solo "mucho mejor" sería significativo. ‡Un participante no pudo completar la evaluación de PGA-C debido a limitaciones de tiempo. ††Un participante interpretó de forma incorrecta la escala de respuesta y, por lo tanto, fue excluido.

## Referencias bibliográficas

- Longhurst HJ, et al. *Clin Exp Immunol*. 2017;188(1):148-53.
- Trainotti S, et al. *J Allergy Clin Immunol Pract*. 2023;11(12):3772-9.
- Cicardi M, et al. *Allergy Asthma Clin Immunol*. 2010;6(1):14.
- Braun V, et al. *Qual Res Psych*. 3(2):77-101.
- Joffe H, et al. *Research methods for clinical and health psychology*. London: SAGE; 2004:56-58.
- Bryant A, et al. *The SAGE handbook of current developments in grounded theory*. London: SAGE; 2019.
- Corbin J, et al. *Basics of qualitative research: Techniques and procedures for developing grounded theory*. London: SAGE; 2008.
- Kerr C, et al. *Expert Rev Pharmacoecon Outcomes Res*. 2010;10(3):269-81.
- Weller K, et al. *Allergy*. 2012;67(10):1289-98.
- Vanya M, et al. *J Patient Rep Outcomes*. 2023;7(1):33.
- Weller K, et al. *Allergy*. 2013;68(9):1185-92.
- Brix ATH, et al. *Acta Derm Venereol*. 2021;101(5):adv00456.