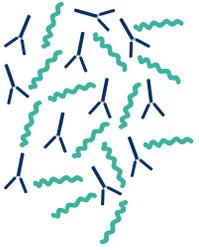


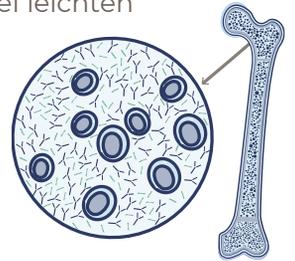
WAS IST AL-AMYLOIDOSE?



Das Krankheitsbild Amyloidose umfasst eine Gruppe seltener Erkrankungen, bei denen sich fehlgefaltete Proteine zu krankmachenden, unlöslichen Amyloidfibrillen verklumpen. Diese lagern sich in Geweben oder Organen ab.¹

Die häufigste Form der Erkrankung ist die Leichtketten-Amyloidose, auch AL-Amyloidose genannt. Sogenannte Plasmazellen im Knochenmark produzieren Proteine, die als Antikörper fungieren und normalerweise aus zwei leichten und zwei schweren Proteinketten bestehen.

Bei der AL-Amyloidose vermehren sich defekte Plasmazellen unkontrolliert im Knochenmark und stellen veränderte Leichtketten vor, die folglich zu Amyloidfibrillen verklumpen.¹



MÖGLICHE SYMPTOME²



Schwellung der Arme und Beine



Kurzatmigkeit



Herzrhythmusstörungen



Übelkeit



Durchfall



Vergrößerte Zunge



Taubheit oder Kribbeln der Extremitäten

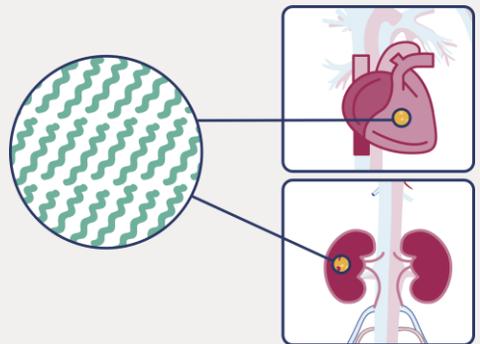


Haut- einblutungen insbesondere um die Augen



... und viele weitere unspezifische Symptome, die auch mit anderen Erkrankungen assoziiert sind und damit die Diagnose erschweren.³

Amyloidfibrillen können sich in verschiedenen Organen ablagern, insbesondere im Herz und in den Nieren. Dies kann zu erheblichen **Organschäden, Organversagen** und in der Folge auch zum Tod führen.³



EPIDEMIOLOGIE

Amyloidose betrifft beide Geschlechter – wobei Männer etwas häufiger betroffen sind.^{4,5} Das durchschnittliche Erkrankungsalter bei Diagnosestellung liegt bei 65 Jahren.⁶ Die Inzidenz beträgt 5-13 Personen pro 1 Million im Jahr, wobei von einer Dunkelziffer ausgegangen werden kann.

KRANKHEITSVERLAUF

Die Krankheit verläuft unbehandelt rasch progredient. Fast 90 % der Patient:innen leiden unter starker Müdigkeit, Gewichtsverlust und Ödemen.⁷ Andere Symptome treten abhängig davon auf, welche Organe betroffen sind – bei etwa 30 % der Patient:innen sind es drei oder mehr.⁸



Unbehandelt führt die Erkrankung im Mittel nach 6 bis 12 Monaten zum Tod. Eine schnelle und genaue Diagnose, die zur Einleitung einer Behandlung führt, ist wichtig, um das Überleben und die Lebensqualität der Betroffenen zu verbessern.³

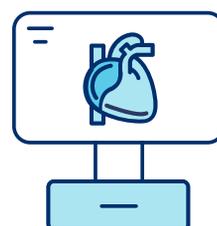
WIE WIRD AL-AMYLOIDOSE DIAGNOSTIZIERT?

Die korrekte Diagnose der AL-Amyloidose erfolgt aufgrund der **unspezifischen Symptome** der Erkrankung häufig **verzögert**. Sie beinhaltet mehrere **laborchemische und körperliche** Untersuchungen.⁸



Bei dem Verdacht auf Amyloidose, wird im Regelfall eine Gewebebiopsie durchgeführt. Dabei wird ein kleines Stück Gewebe aus dem Knochenmark, einem betroffenen Organ oder aus dem Bauchfett entnommen und auf Amyloid-Ablagerungen untersucht. Mit Hilfe dieser Methode kann nicht nur die Diagnose Amyloidose gestellt, sondern auch der Typ der Erkrankung identifiziert werden.

Eine **Bildgebung der betroffenen Organe** kann helfen, den Schweregrad der Erkrankung zu bestimmen.⁸



WAS SIND DIE DERZEITIGEN THERAPIEOPTIONEN?

Es gibt keine zugelassenen Therapien, die schon verursachte Organschäden beheben können. Die derzeitigen Behandlungen, einschließlich **Knochenmarkstransplantation und/oder Chemotherapie**, zielen darauf ab, die Bildung neuer toxischer Amyloidfibrillen zu unterdrücken und/oder zu verhindern.¹

Je nach Symptomatik empfehlen Ärzte möglicherweise auch die Einnahme bestimmter Herz- und Blutdruckmedikamente. Bei einer starken Einschränkung der Nierenfunktion kann auch eine Dialyse oder Nierentransplantation notwendig werden.



Alexion führt zwei globale Phase-III-Studien durch, um einen neuen Weg in der Behandlung der AL-Amyloidose zu beschreiten.

- Referenzen**
1. Desport, C. et al. AL Amyloidosis. Orphanet J Rare Dis. 2012;7:54.
 2. Mayo Clinic. Amyloidosis-Symptoms and causes (2020, March 14). Verfügbar unter: <https://www.mayoclinic.org/diseases-conditions/amyloidosis/symptoms-causes/syc-20353178> Letzter Zugriff: Oktober 2022.
 3. Sanchorawala, V. Light-Chain (AL) Amyloidosis: Diagnosis and Treatment. Clin J Am Soc Nephrol. 2006;1:1331-1341.
 4. Yilmaz, A. et al. Diagnostik und Therapie der kardialen Amyloidose. Kardiologie 2019;(13):264-291.
 5. Nienhuis HL, et al. The Prevalence and Management of Systemic Amyloidosis in Western Countries. Kidney Dis (Basel). 2016;2(1):10-19.
 6. Quock, TP. et al. Epidemiology of AL amyloidosis: a real-world study using US claims data. Blood Advances. 2018;2(10):1046-53.
 7. Baker KR, Rice L. The amyloidoses: clinical features, diagnosis and treatment. Methodist Debakey Cardiovasc J. 2012;8(3):3-7.
 8. Lousada, I. et al. Light Chain Amyloidosis: Patient Experience Survey from the Amyloidosis Research Consortium. Adv Ther. 2015;32:920-928.

Weiterführende Informationen finden Sie unter alexion.de